



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/227007/2025
EMA/H/C/005772

Zemcelpro (*dorokubicel/neexpandované CD34- bunky*)

Prehľad o lieku Zemcelpro a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Zemcelpro a na čo sa používa?

Zemcelpro je liek obsahujúci kmeňové bunky, ktorý sa používa na liečbu dospelých pacientov s hematologickými malignitami (rakovinou krvných buniek), ktorí potrebujú alogénnu transplantáciu krvotvorných kmeňových buniek (alo-HSCT) a pre ktorých nie je k dispozícii iný typ vhodných darcovských buniek.

Alo-HSCT je postup, pri ktorom sa z kostnej drene pacienta (hubovitého tkaniva vnútri veľkých kostí, v ktorom sa vytvárajú krvné bunky) odstránia bunky, ktoré sa potom nahradia bunkami od vhodného darcu; transplantované bunky sa množia a vyvíjajú na zdravé špecializované krvné a imunitné bunky. Liek Zemcelpro sa podáva po tom, čo pacienti podstúpili kondičnú (prípravnú) liečbu liekmi proti rakovine na odstránenie buniek z kostnej drene.

HSCT je zriedkavý postup, a preto bol liek Zemcelpro 22. apríla 2020 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia (liek používaný pri zriedkavých ochoreniach) na použitie u pacientov, ktorí potrebujú HSCT. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Zemcelpro je osobitne vyrobený pre každého pacienta. Obsahuje dva typy kmeňových buniek z darovanej pupočníkovej krvi: dorokubicel (expandované CD34+ bunky; expandovaný znamená, že bunky boli vypestované a rozmnožené v laboratóriu) a neexpandované CD34- bunky.

Ako sa liek Zemcelpro používa?

Výdaj lieku Zemcelpro je viazaný na lekársky predpis. Liek musí podávať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou rakoviny krvných buniek, v kvalifikovanom transplantačnom centre s odbornými znalosťami o HSCT.

Liek Zemcelpro sa podáva jednorazovo ako jedna dávka formou infúzie (kvapkania) do žily. Jedna dávka lieku Zemcelpro pozostáva z 1 až 4 infúzných vakov obsahujúcich dorokubicel a 4 vakov obsahujúcich neexpandované CD34- bunky.

Pred liečbou a po liečbe liekom Zemcelpro dostávajú pacienti ďalšie lieky na zníženie rizika reakcií spojených s infúziou a na prevenciu komplikácií pri transplantácii.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Viac informácií o používaní lieku Zemcelpro si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára.

Akým spôsobom liek Zemcelpro účinkuje?

Liek Zemcelpro sa používa na liečbu pacientov s rakovinou krvi, ktorí potrebujú alo-HSCT a pre ktorých nie je k dispozícii žiadny iný typ vhodných darcovských buniek.

U týchto pacientov sa môžu použiť bunky pupočníkovej krvi; u niektorých pacientov však nie je k dispozícii vhodná pupočníková krv z dôvodu nízkeho počtu kmeňových buniek v darovanej pupočníkovej krvi. Nízky počet kmeňových buniek v pupočníkovej krvi môže oddialiť prihojenie štep (keď transplantované bunky začnú rásť a produkovať zdravé krvné bunky).

V prípade lieku Zemcelpro sa niektoré kmeňové bunky z pupočníka pestujú a množia v laboratóriu a potom sa podávajú spolu s neexpandovanými bunkami z tej istej pupočníkovej krvi. Expandované bunky CD34+ podporujú najmä rast zdravých krvných buniek, zatiaľ čo neexpandované bunky CD34- ho podporujú a pomáhajú tiež odstraňovať zvyšné rakovinové bunky. Po infúzii kmeňové bunky z lieku Zemcelpro migrujú do kostnej drene, kde sa množia, dozrievajú a vyvíjajú sa na zdravé špecializované krvné a imunitné bunky.

Aké prínosy lieku Zemcelpro boli preukázané v štúdiách?

Prínosy lieku Zemcelpro sa preukázali v dvoch hlavných štúdiách zahŕňajúcich 25 pacientov s vysoko rizikovou leukémiou alebo myelodyspláziou (druhy rakoviny krvi), ktorí potrebovali alo-HSCT a pre ktorých nebol k dispozícii žiadny iný typ vhodných darcovských buniek. V prebiehajúcich štúdiách sa liek Zemcelpro neporovnával so žiadnou inou liečbou.

V štúdiách sa preukázalo, že priemerný čas, ktorý pacienti potrebovali na to, aby sa dosiahlo prihojenie neutrofilov (keď transplantované bunky začnú rásť a produkovať neutrofilov, druh bielych krviniek) po podaní lieku Zemcelpro, bol 20 dní. Do 42. dňa sa dosiahlo prihojenie neutrofilov u 21 z 25 pacientov (84 %).

Okrem toho pacienti dosiahli prihojenie krvných doštičiek (keď transplantované bunky začnú rásť a produkovať krvné doštičky, zložky, ktoré pomáhajú pri zrážaní krvi) v priemere po 40 dňoch po podaní lieku Zemcelpro; do 100. dňa dosiahlo prihojenie krvných doštičiek 17 z 25 pacientov (68 %).

Uvedené výsledky naznačujú, že transplantácia bola úspešná a že sa v kostnej dreni začali vytvárať nové krvné bunky.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Zemcelpro?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Zemcelpro a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Zemcelpro (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú lymfopénia (nízka hladina lymfocytov, druhu bielych krviniek), infekcie, anémia (nízka hladina červených krviniek), neutropénia (nízka hladina neutrofilov), trombocytopenia (nízka hladina krvných doštičiek), leukopénia (nízka hladina bielych krviniek), hypogamaglobulinémia (znížená hladina protilátok v krvi), febrilná neutropénia (nízka hladina neutrofilov s horúčkou), hypertenzia (vysoký krvný tlak), syndróm prihojenia štep (komplikácia HSCT s príznakmi, ako je horúčka, vyrážka a iné zápalové reakcie) a pneumónia (infekcia pľúc). Akútna reakcia štep proti hostiteľovi (GvHD, keď darcovské bunky napadnú telo krátko po transplantácii) bola hlásená u 60 % pacientov a chronická

GvHD (ktorá sa zvyčajne vyvinie neskôr ako akútna GvHD, v priebehu niekoľkých týždňov až mesiacov po transplantácii) bola hlásená u 16 % pacientov.

Vedľajšie účinky, ktoré viedli k úmrtiu, sa vyskytli približne u 8 % pacientov liečených liekom Zemcelpro a zahŕňali infekcie, akútnu GvHD, pľúcnu alveolárnu hemorágiu (stav, pri ktorom dochádza ku krvácaniu do pľúcnych vzdušných mechúrikov), pneumonitídu (zápal pľúc, napríklad syndróm idiopatickej pneumónie a kryptogénnu organizovanú pneumóniu) a pľúcnu hypertenziu (vysoký krvný tlak v cievach zásobujúcich pľúca).

Prečo bol liek Zemcelpro povolený v EÚ?

V čase povolenia predstavovala liečba pacientov s rakovinou krvných buniek, ktorí potrebovali HSCT a pre ktorých nebol k dispozícii žiadny iný typ vhodných darcovských buniek, klinický problém. Títo pacienti nemali k dispozícii žiadne iné možnosti liečby a ich šanca na uzdravenie bola minimálna.

Na základe výsledkov od malého počtu pacientov v prebiehajúcich štúdiách bolo obnovenie neutrofilov a krvných doštičiek po liečbe liekom Zemcelpro rýchle, silné a trvalé, čo naznačuje, že liek Zemcelpro môže byť pre týchto pacientov prínosom. Bezpečnosť lieku Zemcelpro sa u týchto pacientov považovala za prijateľnú, keďže v čase povolenia nemali žiadne iné možnosti liečby.

Liek Zemcelpro bol povolený na používanie v EÚ s podmienkou. To znamená, že bol povolený na základe menej komplexných údajov, než sa bežne požaduje, pretože napĺňa dovtedy nenaplnenú liečebnú potrebu. Európska agentúra pre lieky sa domnieva, že prínos skoršieho sprístupnenia lieku je väčší ako všetky riziká spojené s jeho používaním, kým sa čaká na ďalšie dôkazy.

Spoločnosť musí predložiť ďalšie údaje o lieku Zemcelpro. Musí predložiť konečné výsledky dvoch prebiehajúcich hlavných štúdií a dvoch ďalších štúdií s liekom Zemcelpro a poskytnúť údaje z ďalšej štúdie založenej na registri pacientov liečených liekom Zemcelpro. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Zemcelpro?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Zemcelpro boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Zemcelpro sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Zemcelpro sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Zemcelpro

Ďalšie informácie o lieku Zemcelpro sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zemcelpro