



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. september 2021
EMA/546292/2021

Výbor CHMP schválil preskúmanie, v ktorom sa nezistila žiadna súvislosť medzi vírusovým vektorom v lieku Zynteglo a rakovinou krvi

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry EMA schválil 22. júla 2021 zistenia preskúmania, v ktorom dospel k záveru, že neexistujú žiadne dôkazy, že liek Zynteglo spôsobuje rakovinu krvi známu ako akútna myeloidná leukémia (AML).

Liek Zynteglo, génová terapia pri beta-talasémii, ochorení krvi, používa vírusový vektor (alebo modifikovaný vírus) na dodanie funkčného génu do krvíniiek pacienta.

V rámci preskúmania sa posudzovali dva prípady AML u pacientov liečených skúmaným liekom bb1111 v klinickom skúšaní liečby kosáčikovitej anémie. Hoci neboli hlásené žiadne prípady AML pri používaní lieku Zynteglo, obidva lieky používajú rovnaký vírusový vektor a vyskytli sa obavy, že vektor sa môže podieľať na vzniku rakoviny (inzerčnej onkogenézy).

Na základe preskúmania, ktoré uskutočnil výbor pre bezpečnosť liekov (PRAC) agentúry EMA za podpory odborníkov Výboru pre inovatívnu liečbu (CAT), sa zistilo, že vírusový vektor pravdepodobne nie je príčinou. U jedného z pacientov nebol vírusový vektor prítomný v rakovinových bunkách a u druhého pacienta bol prítomný v mieste (VAMP4), ktoré sa zrejme nezúčastňuje na vývoji rakoviny.

Po preskúšaní všetkých dôkazov bolo jasné, že medzi hodnovernejšie vysvetlenia prípadov AML patrí kondicionálna liečba, ktorú pacienti dostávali na odstránenie buniek kostnej drene, a vyššie riziko rakoviny krvi u osôb s kosáčikovitou anémiou.

Pacienti, ktorí podstúpili liečbu beta-talasémie liekom Zynteglo, potrebujú pred podaním lieku Zynteglo aj kondicionálnu liečbu na odstránenie buniek kostnej drene. Zdravotnícki pracovníci preto majú výslovne informovať pacientov, ktorí dostávajú liek Zynteglo, o zvýšenom riziku rakoviny krvi na základe liekov používaných pri kondicionálnej liečbe.

Výbor CHMP schválil aktualizáciu odporúčaní na sledovanie pacientov. Zdravotnícki pracovníci majú teraz u svojich pacientov kontrolovať príznaky rakoviny krvi **aspoň** raz ročne počas 15 rokov.¹

Výbor CHMP dospel k záveru, že prínosy lieku Zynteglo naďalej prevyšujú jeho riziká. Tak ako pri všetkých liekoch, agentúra EMA bude monitorovať všetky nové údaje o bezpečnosti lieku a v prípade potreby aktualizovať odporúčania pre pacientov a zdravotníckych pracovníkov.

¹ Podľa predchádzajúceho odporúčania mali zdravotnícki pracovníci raz ročne skontrolovať príznaky rakoviny.



Informácie pre pacientov

- Pri preskúmaní agentúrou EMA sa nenašiel žiadny dôkaz toho, že vírusový vektor v lieku Zynteglo spôsobuje rakovinu krvi známou ako akútna myeloidná leukémia (AML).
- Liek Zynteglo sa bude naďalej používať tak ako predtým. Zdravotnícky pracovník vás však môže pozvať na skrining rakoviny častejšie ako raz ročne.
- Ak máte akékoľvek otázky týkajúce sa svojej liečby, obráťte sa na zdravotníckeho pracovníka.

Informácie pre zdravotníckych pracovníkov

- V rámci preskúmania agentúrou EMA sa dospelo k záveru, že neexistuje žiadny dôkaz, že vírusový vektor v lieku Zynteglo spôsobuje AML.
- Hoci AML sa pozorovala u dvoch pacientov, ktorí dostávali rovnaký vírusový vektor v inom lieku, existujú hodnovernejšie vysvetlenia než inzerčná onkogenéza, medzi ktoré patrí kondicionálna liečba, ktorú pacienti dostávali, a vyššie riziko hematologickej rakoviny u osôb s kosáčikovitou anémiou.
- Zdravotnícki pracovníci preto majú výslovne informovať pacientov, ktorí dostávajú liek Zynteglo, o zvýšenom riziku rakoviny krvi na základe liekov používaných pri kondicionačnej liečbe.
- Zdravotnícki pracovníci majú naďalej sledovať pacientov z hľadiska rakoviny. Agentúra EMA aktualizovala svoje odporúčanie týkajúce sa skriningu rakoviny a zmenila požiadavku z jedenkrát ročne na **najmenej** raz ročne.

Ďalšie informácie o lieku

Liek Zynteglo je jednorazová liečba ochorenia krvi známeho ako beta-talasémia u pacientov vo veku od 12 rokov, ktorí potrebujú pravidelné krvné transfúzie.

Liek Zynteglo sa vyrába tak, že sa kmeňové bunky odoberú z krvi pacienta, a potom sú modifikované prostredníctvom vírusu, ktorý prenáša funkčné kópie beta-globínového génu do buniek. Keď sú tieto modifikované bunky podané pacientovi, krvným obehom sú prenesené do kostnej drene, kde začnú vyrábať zdravé červené krvinky, ktoré produkujú beta-globín. Predpokladá sa, že účinok lieku Zynteglo bude pretrvávať počas celého života pacienta.

Lieku Zynteglo bolo v máji 2019 udelené podmienené povolenie na uvedenie na trh. Podmienené povolenie znamená, že sa čaká na ďalšie dôkazy o lieku, ktoré spoločnosť predloží. Agentúra EMA pravidelne skúma nové dostupné informácie.

Ďalšie informácie o postupe

Preskúmanie lieku Zynteglo sa začalo 18. februára 2021 na žiadosť Európskej komisie podľa [článku 20 nariadenia \(ES\) č. 726/2004](#).

Preskúmanie najprv uskutočnil Výbor pre hodnotenie farmakovigilančných rizík (PRAC), výbor zodpovedný za hodnotenie otázok bezpečnosti liekov na humánne použitie, ktorý úzko spolupracoval s odborníkmi z [Výboru pre inovatívnu liečbu \(CAT\)](#).

Odporúčania výboru PRAC boli zaslané výboru CAT, ktorý 16. júla 2021 prijal návrh stanoviska v súlade s odporúčaniami výboru PRAC a následne Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) zodpovednému za otázky týkajúce sa liekov na humánne použitie. Výbor CHMP prijal 22. júla 2021 záverečné stanovisko agentúry, v ktorom zohľadnil návrh stanoviska výboru CAT. Stanovisko výboru CHMP bolo postúpené Európskej komisii, ktorá 16. septembra 2021 vydala konečné právne záväzné rozhodnutie platné vo všetkých členských štátoch EÚ.

Liek s ukončenou platnosťou registrácie