



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/577381/2023
EMA/H/C/005763

Casgevy (eksagamglogen avtotemcel)

Pregled zdravila Casgevy in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Casgevy in za kaj se uporablja?

Casgevy je zdravilo, ki se pri bolnikih, starejših od 12 let, uporablja za zdravljenje krvnih motenj, znanih kot beta-talasemija in srpastocelična bolezen.

Za beta-talasemijo se zdravilo Casgevy uporablja pri bolnikih, ki potrebujejo redne transfuzije krvi. Bolniki s to boleznijo ne proizvajajo dovolj hemoglobina, tj. beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki prenaša kisik po telesu. Zato imajo nizke ravni rdečih krvnih celic in potrebujejo pogoste transfuzije krvi.

Pri srpastocelični bolezni se zdravilo Casgevy uporablja pri bolnikih s hudo obliko bolezni in ponavljajočimi se bolečimi krizami. Bolniki s to boleznijo imajo nenormalno obliko hemoglobina, zaradi katerega rdeče krvne celice postanejo toge in lepljive ter spremenijo obliko iz okroglo-ploščate v srpasto (podobno srpu). Te celice lahko blokirajo krvne žile in povzročajo boleče krize, ki prizadenejo prsni koš, trebuh in druge dele telesa.

Beta-talasemija in srpastocelična bolezen sta redki, zato je bilo zdravilo Casgevy določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o določitvi zdravil sirot so na voljo na spletni strani Evropske agencije za zdravila ([beta-talasemija](#)): 17. oktobra 2019; [srpastocelična bolezen](#): 9. januarja 2020)

Zdravilo Casgevy vsebuje kot učinkovino gensko spremenjene matične celice (celice, ki se lahko razvijejo v krvne celice), vzete iz bolnikove lastne krvi. Uporablja se, kadar je zdravljenje z matičnimi celicami primerno in ni na voljo primernih darovalcev matičnih celic.

Kako se zdravilo Casgevy uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Casgevy je le na recept, v odobrenem zdravstvenem centru pa ga sme dajati le zdravnik, ki je usposobljen za dajanje tega zdravila ter ima izkušnje s presaditvijo matičnih celic in zdravljenjem krvnih motenj, ki vplivajo na hemoglobin.

Zdravilo Casgevy je izdelano za vsakega bolnika posebej iz matičnih celic, pridobljenih iz njegove lastne krvi, zato sme uporabljati samo pri tistem bolniku, za katerega je bilo izdelano. Zdravilo se daje v obliki enkratnega odmerka z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno, odmerek pa je odvisen od telesne mase bolnika.

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



Pred zdravljenjem z zdravilom Casgevy bo bolnik prejel pripravljeno zdravljenje s kemoterapijo za odstranitev celic kostnega mozga.

Za več informacij glede uporabe zdravila Casgevy glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravstvenim delavcem.

Kako zdravilo Casgevy deluje?

Za izdelavo zdravila Casgevy se matične celice preuredijo (s tehnologijo CRISPR/Cas9), tako da proizvedejo več fetalnega hemoglobina, tj. vrste hemoglobina, ki ga imajo dojenčki v maternici, v majhnih količinah pa je prisoten tudi pri odraslih. Ker lahko fetalni hemoglobin nadomesti pomanjkanje normalnega hemoglobina pri odraslih, lahko spremenjene matične celice po injiciranju zvišajo ravni rdečih krvnih celic pri bolnikih z beta-talasemijo in preprečijo boleče krize pri bolnikih s srpastocelično boleznijo.

Kakšne koristi zdravila Casgevy so se pokazale v študijah?

Učinki zdravila Casgevy temeljijo na vmesnih rezultatih dveh študij, ki še vedno potekata. V študijah zdravila Casgevy niso primerjali z nobenim drugim zdravilom ali placebom.

V študiji z bolniki s talasemijo, starimi od 12 do 35 let, pri katerih se je zdravilo dajalo po pripravljalnem zdravljenju s kemoterapijo, je 39 bolnikov od 42 ohranilo ravni hemoglobina nad 9 g/dl brez potrebe po transfuziji krvi vsaj 12 zaporednih mesecev.

Zdravilo Casgevy se je izkazalo za učinkovito tudi pri preprečevanju bolečih srpastoceličnih kriz. V študiji pri bolnikih s hudo srpastocelično boleznijo, starih od 12 do 35 let, 28 bolnikov od 29 vsaj 12 zaporednih mesecev ni doživelo nobene boleče krize, kadar so prejeli zdravilo Casgevy po pripravljalni kemoterapiji. Noben od bolnikov (29 od 29) ni potreboval hospitalizacije zaradi bolečih kriz vsaj 12 zaporednih mesecev.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Casgevy?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Casgevy glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Casgevy (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so glavobol, navzeja (siljenje na bruhanje) ter bolečine v mišicah in kosteh.

Zdravniki morajo proučiti, ali lahko bolniki pred zdravljenjem z zdravilom Casgevy prejmejo predhodno pripravljeno zdravljenje.

Zakaj je bilo zdravilo Casgevy odobreno v EU?

Beta-talasemija, pri kateri je potrebna transfuzija, in srpastocelična bolezen sta resni bolezni, pri katerih so možnosti zdravljenja omejene. Čeprav so bile študije z zdravilom Casgevy majhne in so z njihovo zasnovo povezane negotovosti, so pokazale, da lahko enkratno zdravljenje zmanjša potrebo po transfuziji rdečih krvnih celic pri bolnikih z beta-talasemijo in število bolečih kriz pri bolnikih s srpastocelično boleznijo.

Z vidika varnosti so bolniki zdravljenje na splošno dobro prenašali, neželeni učinki pa so bili v glavnem posledica pripravljalne kemoterapije. Obstaja sicer teoretično tveganje za raka, ki bi ga povzročile nenamerne spremembe genskega materiala, čeprav takšnih primerov do zdaj niso opazili. Obstaja tudi

možno tveganje za krvavitev, saj lahko zdravilo povzroči zmanjšanje števila trombocitov (sestavin, ki pomagajo pri strjevanju krvi). Ukrepi za spremljanje pojava tovrstnih dogodkov so vzpostavljeni v okviru 15-letne študije, ki temelji na registru bolnikov.

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Casgevy večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU. Zdravilo Casgevy je pridobilo „pogojno dovoljenje za promet“. To pomeni, da bo moralo podjetje po pridobitvi dovoljenja za promet predložiti dodatne dokaze.

Pogojno dovoljenje za promet z zdravilom se izda na podlagi manj izčrpnih podatkov, kot je običajno potrebno. Izda se za zdravila, ki izpolnjujejo neizpolnjeno zdravstveno potrebo po zdravljenju resnih bolezni, in kadar koristi prejšnje razpoložljivosti zdravil odtehtajo tveganja, povezana z uporabo zdravil, medtem ko se čaka na dodatne dokaze. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, dokler podatki ne bodo popolni. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Casgevy?

Podjetje, ki trži zdravilo Casgevy, bo predložilo rezultate potekajočih študij za nadaljnjo oceno učinkovitosti in varnosti zdravila. Zdravstvenim delavcem, za katere se pričakuje, da bodo uporabljali zdravilo, bo priskrbelo tudi izobraževalno gradivo z informacijami o njegovi varnosti, vključno z morebitnim tveganjem za nastanek raka in potrebo po spremljanju ravni trombocitov pri bolnikih ter informacijami o načinu dajanja zdravila. Bolniki bodo prejeli tudi vodnik in opozorilno kartico, ki jo morajo imeti vedno pri sebi.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Casgevy upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Casgevy stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravlilu Casgevy, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Casgevy

Nadaljnje informacije za zdravilo Casgevy so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy