



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorokubicel/neekspandirane celice CD34-*)

Pregled zdravila Zemcelpro in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Zemcelpro in za kaj se uporablja?

Zemcelpro je zdravilo z matičnimi celicami, ki se uporablja za zdravljenje odraslih s hematološkimi malignimi boleznimi (rakavimi obolenji krvnih celic), ki potrebujejo alogensko presaditev krvotvornih matičnih celic in za katere ni na voljo nobena druga vrsta primernih donorskih celic.

Alogenska presaditev krvotvornih matičnih celic je postopek, pri katerem iz bolnikovega kostnega mozga (gobastega tkiva v velikih kosteh, v katerem nastajajo krvne celice) odstranijo celice, ki jih nato nadomestijo celice ustreznega darovalca; presajene celice se razmnožijo in razvijejo v zdrave specializirane krvne in imunske celice. Zdravilo Zemcelpro se daje po tem, ko bolnik prejme pripravljeno zdravljenje (predpripravo) z zdravili za zdravljenje raka, da se iz kostnega mozga odstranijo celice.

Presaditev krvotvornih matičnih celic je redek postopek, zato je bilo zdravilo Zemcelpro 22. aprila 2020 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za uporabo pri bolnikih, ki potrebujejo presaditev krvotvornih matičnih celic. Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Zemcelpro se proizvaja za vsakega bolnika posebej. Vsebuje dve vrsti matičnih celic, pridobljenih iz darovane popkovnične krvi: dorokubicel (ekspandirane celice CD34+; ekspandirane pomeni, da so bile celice gojene in razmnožene v laboratoriju) in neekspandirane celice CD34-.

Kako se zdravilo Zemcelpro uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Zemcelpro je le na recept. Dajati ga mora zdravnik z izkušnjami z zdravljenjem raka krvnih celic na specialističnem oddelku za transplantacijo, ki ima strokovno znanje na področju presaditve krvotvornih matičnih celic.

Zdravilo Zemcelpro se daje v enkratnem odmerku z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno. Enkratni odmerek zdravila Zemcelpro je sestavljen iz ene do štirih infuzijskih vrečk, ki vsebujejo dorokubicel, in štirih vrečk, ki vsebujejo neekspandirane celice CD34-.

Pred zdravljenjem z zdravilom Zemcelpro in po njem bolniki prejmejo druga zdravila za zmanjšanje tveganja za reakcije, povezane z infundiranjem, in preprečevanje zapletov pri presaditvi.

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



Za več informacij glede uporabe zdravila Zemcelpro glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Zemcelpro deluje

Zdravilo Zemcelpro se uporablja za zdravljenje bolnikov s krvnim rakom, ki potrebujejo alogensko presaditev krvotvornih matičnih celic in za katere ni na voljo nobena druga vrsta primernih donorskih celic.

Pri teh bolnikih se lahko uporabljajo celice popkovnične krvi, vendar pri nekaterih bolnikih ni na voljo ustrezne popkovnične krvi zaradi majhnega števila matičnih celic v darovani popkovnični krvi. Majhno število matičnih celic v popkovnični krvi lahko upočasni vsaditev (ko presajene celice začnejo rasti in proizvajati zdrave krvne celice).

V zdravilu Zemcelpro se nekatere matične celice popkovnične krvi gojijo in razmnožijo v laboratoriju, nato pa se dajejo skupaj z neekspandiranimi celicami iz iste popkovnične krvi. Ekspandirane celice CD34+ predvsem spodbujajo rast zdravih krvnih celic, neekspandirane celice CD34– pa jih pri tem podpirajo in pomagajo tudi pri odstranjevanju morebitnih preostalih rakavih celic. Po infundiranju se začnejo matične celice iz zdravila Zemcelpro premikati v kostni mozeg, kjer se razmnožijo, dozoriijo in razvijejo v zdrave specializirane krvne in imunske celice.

Kakšne koristi zdravila Zemcelpro so se pokazale v študijah?

Koristi zdravila Zemcelpro so dokazali v dveh glavnih študijah, v kateri je bilo vključenih 25 bolnikov z levkemijo z visokim tveganjem ali mielodisplazijo (vrstama krvnega raka), ki so potrebovali alogensko presaditev krvotvornih matičnih celic in za katere ni bila na voljo nobena druga vrsta primernih donorskih celic. V študijah, ki še potekajo, zdravila Zemcelpro niso primerjali z nobenim drugim zdravilom.

Študiji sta pokazali, da je povprečni čas, ki so ga bolniki potrebovali za vsaditev nevtrofilcev (ko začnejo presajene celice rasti in proizvajati nevtrofilce, tj. vrsto belih krvnih celic), po prejemu zdravila Zemcelpro 20 dni. Do 42. dne je do vsaditve nevtrofilcev prišlo pri 21 od 25 (84 %) bolnikov.

Poleg tega je do vsaditve trombocitov (ko presajene celice začnejo rasti in proizvajati trombocite, tj. celice, ki pomagajo pri strjevanju krvi) prišlo po povprečno 40 dneh po prejemu zdravila Zemcelpro; do 100. dne je do vsaditve trombocitov prišlo pri 17 od 25 bolnikov (68 %).

Zgornji rezultati kažejo, da je bila presaditev uspešna in da so v kostnem mozgu začele nastajati nove krvne celice.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Zemcelpro?

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

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Zemcelpro (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so limfopenija (nizka raven limfocitov, vrste belih krvnih celic), okužbe, anemija (nizka raven rdečih krvnih celic), nevtropenija (nizka raven nevtrofilcev), trombocitopenija (nizka raven trombocitov), levkopenija (nizka raven belih krvnih celic), hipogamaglobulinemija (znižana raven protiteles v krvi), febrilna nevtropenija (nizka raven nevtrofilcev s povišano telesno temperaturo), hipertenzija (visok krvni tlak), sindrom vsaditve (zaplet presaditve krvotvornih matičnih celic s simptomi, kot so povišana telesna temperatura, izpuščaji in drugi vnetni odzivi) in pljučnica (okužba pljuč). O akutni bolezni presadka proti gostitelju (pri kateri donorske celice napadejo telo kmalu po presaditvi) so poročali pri

60 % bolnikov, o kronični bolezni presadka proti gostitelju (ki se običajno razvije pozneje kot akutna bolezni presadka proti gostitelju, in sicer v nekaj tednih do mesecih po presaditvi) pa pri 16 % bolnikov.

Neželeni učinki, ki so povzročili smrt, so se pojavili pri približno 8 % bolnikov, zdravljenih z zdravilom Zemcelpro, in so vključevali okužbe, akutno bolezen presadka proti gostitelju, pljučno alveolarno krvavitev (stanje, pri katerem se krvavitev pojavi v pljučnih mešičkih), pnevmonitis (vnetje pljuč, kot sta sindrom idiopatske pljučnice in kriptogena organizirajoča pljučnica) in pljučno hipertenzijo (visok krvni tlak v krvnih žilah, ki oskrbujejo pljuča).

Zakaj je bilo zdravilo Zemcelpro odobreno v EU?

V času izdaje dovoljenja za promet z zdravilom je zdravljenje bolnikov z rakom krvnih celic, ki so potrebovali presaditev krvotvornih matičnih celic in za katere ni bila na voljo nobena druga vrsta primernih donorskih celic, predstavljalo klinični izziv. Ti bolniki niso imeli na voljo drugih možnosti zdravljenja in so imeli minimalne možnosti za okrevanje.

Na podlagi rezultatov majhnega števila bolnikov v študijah, ki še potekajo, je bilo okrevanje nevtrofilcev in trombocitov po zdravljenju z zdravilom Zemcelpro hitro, robustno in trajno, kar kaže, da lahko zdravilo Zemcelpro tem bolnikom koristi. V času izdaje dovoljenja za promet je bila varnost zdravila Zemcelpro pri bolnikih, ki nimajo drugih možnosti zdravljenja, ocenjena kot sprejemljiva.

Zdravilo Zemcelpro je pridobilo pogojno dovoljenje za promet v EU. To pomeni, da je bilo odobreno na podlagi manj izčrpnih podatkov, kot je običajno potrebno, ker izpolnjuje neizpolnjeno zdravstveno potrebo. Evropska agencija za zdravila meni, da koristi zgodnejše razpoložljivosti zdravila odtehtajo vsa tveganja, povezana z njegovo uporabo, medtem ko se čaka na dodatne dokaze.

Podjetje mora predložiti dodatne podatke o zdravilu Zemcelpro. Predložiti mora končne rezultate dveh potekajočih glavnih študij in dveh dodatnih študij z zdravilom Zemcelpro ter zagotoviti podatke iz druge študije, ki temelji na registru bolnikov, zdravljenih z zdravilom Zemcelpro. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo.

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

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

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

Druge informacije o zdravilu Zemcelpro

Nadaljnje informacije za zdravilo Zemcelpro so na voljo na spletni strani agencije:

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