



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/116128/2024
EMA/H/C/00462

Abecma (*idekabtagen-vikleucel*)

Sammanfattning av Abecma och varför det är godkänt inom EU

Vad är Abecma och vad används det för?

Abecma är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med multipelt myelom (cancer i benmärgen) när canceren har kommit tillbaka (recidiverande sjukdom) och inte svarat på behandling (refraktär sjukdom). Det ges till vuxna som genomgått minst två föregående behandlingar med immunmodulerare, proteasomhämmare och anti-CD38-antikropp, och vars sjukdom har förvärrats sedan den senaste behandlingen.

Abecma är en typ av läkemedel för avancerad terapi som kallas "genterapi". Denna typ av läkemedel verkar genom att gener förs in i kroppen.

Multipelt myelom är sällsynt och Abecma klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 20 april 2017. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns här: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3171863>

Abecma innehåller den aktiva substansen idekabtagen-vikleucel, som består av genetiskt modifierade T-celler (en typ av vita blodkroppar).

Hur används Abecma?

Abecma framställs med hjälp av patientens egna T-celler som utvinns ur blodet och genmodifieras i laboratorium. Abecma kan endast ges till den patient vars celler användes för att framställa läkemedlet.

Det ges som en engångsinfusion (dropp) i en ven. Innan patienterna får Abecma ska de genomgå en kort behandlingskur med kemoterapi som ska rensa bort deras befintliga vita blodkroppar. Strax före infusionen får patienterna paracetamol och ett antihistaminläkemedel för att minska risken för reaktioner mot infusionen.

Läkemedlet tocilizumab och akututrustning måste finnas till hands ifall patienten drabbas av cytokinfrisättningsyndrom (CRS, en potentiellt livshotande överaktivering av immunsystemet med feber, andfåddhet, lågt blodtryck och huvudvärk).

Patienterna bör övervakas noga under tio dagar efter behandlingen avseende biverkningar och bör stanna kvar i närheten av ett specialistsjukhus under minst fyra veckor efter behandlingen.

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



För mer information om hur du använder Abecma, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Abecma?

Abecma innehåller patientens egna T-celler som har modifierats genetiskt i laboratorium så att de framställer ett protein som kallas chimär antigenreceptor (CAR). CAR kan binda till proteinet BCMA (B-cellmognadsantigen) på cancercellernas yta.

När Abecma ges till patienten binder de modifierade T-cellerna till BCMA och dödar sedan cancerceller, vilket hjälper till att eliminera cancer från kroppen.

Vilka fördelar med Abecma har visats i studierna?

En huvudstudie på 140 patienter med multipelt myelom som inte svarade på minst tre tidigare behandlingar (refraktärt myelom) och som hade kommit tillbaka (recidiverande myelom) visade att Abecma är effektivt när det gäller att eliminera cancer. I studien jämfördes inte Abecma med andra läkemedel eller placebo (overksam behandling). Efter behandling med Abecma uppvisade 30 procent ett fullständigt svar (vilket innebär att de inte längre hade några tecken på cancer), medan 67 procent uppvisade åtminstone ett partiellt svar.

I en kompletterande studie undersöktes 386 patienter med multipelt myelom som hade fått minst två tidigare behandlingar. I denna studie jämfördes Abecma med andra läkemedel för behandling av multipelt myelom (standardbehandlingar). Patienterna på Abecma levde i genomsnitt i 13,8 månader utan att sjukdomen förvärrades, jämfört med 4,4 månader för de som fick standardbehandlingar. Totalt sett svarade 71 procent av patienterna på behandling med Abecma, jämfört med 42 procent av patienterna på standardbehandlingar. Svaret varade i genomsnitt 16,5 månader med Abecma jämfört med 9,7 månader med standardbehandlingar.

Vilka är riskerna med Abecma?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Abecma finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna (kan förekomma hos fler än 1 av 5 användare) är neutropeni (låga halter av neutrofiler, en typ av vita blodkroppar), CRS, anemi (låga nivåer av röda blodkroppar), trombocytopeni (låga nivåer av trombocyter, komponenter i blodet som bidrar till koaguleringen), infektioner, hypofosfatemi (låga fosfatnivåer i blodet), diarré, leukopeni (låga nivåer av vita blodkroppar), hypokalaemi (låga kaliumnivåer i blodet), trötthet, illamående, lymfopeni (låga nivåer av lymfocyter), feber, virusinfektioner, huvudvärk, hypokalcemi (låga kalciumnivåer i blodet), hypomagnesemi (låga halter av magnesium i blodet) och ledsmärta.

De vanligaste allvarliga biverkningarna är CRS (10 procent) och pneumoni (lunginfektion; 7 procent).

Personer som inte kan få kemoterapi för att eliminera de befintliga vita blodkropparna får inte ta Abecma.

Varför är Abecma godkänt i EU?

Abecma ledde till kliniskt relevanta svarsfrekvenser hos patienter med multipelt myelom vars cancer kommit tillbaka och inte svarat på behandling. Patienterna på Abecma levde också längre utan att sjukdomen förvärrades jämfört med standardbehandling. Allvarliga biverkningar, särskilt CRS, kan förekomma, men dessa är hanterbara om lämpliga åtgärder vidtas (se nedan). Europeiska

läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Abecma är större än riskerna och att Abecma kan godkännas för försäljning i EU.

Abecma beviljades ursprungligen ett "villkorat godkännande" eftersom fler uppgifter om läkemedlet skulle komma. Eftersom företaget har lämnat den ytterligare information som krävdes har godkännandet ändrats från villkorat till ett standardgodkännande.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Abecma?

Företaget som marknadsför Abecma måste se till att lämplig expertis, utrustning och utbildning finns på de sjukhus där Abecma ges. Tocilizumab måste finnas till hands i händelse av CRS. Dessutom kommer företaget att tillhandahålla utbildningsprogram om hur man identifierar och hanterar CRS för hälso- och sjukvårdspersonal som deltar i behandlingen av patienter. Företaget måste också tillhandahålla patientkort med information om CRS och allvarliga biverkningar som påverkar nervsystemet, samt när och var man ska söka hjälp om dessa uppträder. Kortet kommer också att informera vårdpersonal om att patienten får Abecma.

Företaget måste också genomföra en studie för att få mer information om Abecmas långsiktiga säkerhet och effektivitet.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Abecma har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Abecma kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Abecma utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Abecma

Den 18 augusti 2021 beviljades Abecma ett villkorat godkännande för försäljning som gäller i hela EU. Den 19 mars 2024 ändrades detta godkännande till ett standardgodkännande för försäljning.

Mer information om Abecma finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 03-2024.