



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Casgevy (exagamglogen autotemcel)

Sammanfattning av Casgevy och varför det är godkänt inom EU

Vad är Casgevy och vad används det för?

Casgevy är ett läkemedel för behandling av blodsjukdomarna betatalassemi och sicklecellsjukdom hos patienter som är 12 år eller äldre.

Vid betatalassemi ges Casgevy till patienter som behöver regelbundna blodtransfusioner. Patienter med denna sjukdom bildar inte tillräckligt med hemoglobin, det protein i de röda blodkropparna som transporterar syre i kroppen. Till följd av detta har dessa patienter låga nivåer av röda blodkroppar och behöver blodtransfusioner ofta.

Vid sicklecellsjukdom ges Casgevy till patienter med svår sjukdom och återkommande smärtkriser. Patienter med denna sjukdom har en onormal form av hemoglobin som gör att de röda blodkropparna stelnar, blir klibbiga och ändrar form från att vara runda skivor till att se ut som månskäror. Dessa celler kan blockera blodkärlen och orsaka smärtkriser som drabbar bröstet, buken (magen) och andra delar av kroppen.

Betatalassemi och sicklecellsjukdom är sällsynta och Casgevy klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar). Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens webbplats ([betatalassemi](#): 17 oktober 2019, [sicklecellsjukdom](#): 9 januari 2020)

Den aktiva substansen i Casgevy utgörs av genetiskt modifierade stamceller (celler som kan utvecklas till blodkroppar) som extraherats ur patientens eget blod. Läkemedlet ges till patienter hos vilka stamcellsbehandling är lämplig, när det inte finns några lämpliga stamcellsdonatorer tillgängliga.

Hur används Casgevy?

Casgevy är receptbelagt och måste ges på en godkänd klinik av en läkare som är utbildad i att ge detta läkemedel och har erfarenhet av stamcellstransplantation och av att behandla blodsjukdomar som påverkar hemoglobin.

Casgevy framställs individuellt för varje patient av stamceller från dennes eget blod och läkemedlet får endast ges till den patient som det framställts för. Det ges som en engångsdosinfusion (dropp) i en ven och dosen beror på patientens kroppsvikt.



Innan Casgevy ges ska patienten få konditioneringsbehandling med kemoterapi för att rensa benmärgen från celler.

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

Hur verkar Casgevy?

För att framställa Casgevy modifieras stamcellerna (med en teknik som kallas CRISPR/Cas9) så att de producerar mer fetalt hemoglobin, en typ av hemoglobin som främst förekommer hos spädbarn i livmodern men som också finns i små mängder hos vuxna. Eftersom fetalt hemoglobin kan kompensera för bristen på normalt vuxet hemoglobin kan injicering av de modifierade stamcellerna höja nivåerna av röda blodkroppar hos patienter med betatalassemi och förhindra smärtkriser hos patienter med sicklecellsjukdom.

Vilka fördelar med Casgevy har visats i studierna?

Effekterna av Casgevy är baserade på interimresultat från två studier som fortfarande pågår. I dessa jämförs inte Casgevy med något annat läkemedel eller placebo.

I en studie på patienter i åldern 12–35 år med talassemi, där läkemedlet gavs efter konditioneringsbehandling med kemoterapi, bibehöll 39 av 42 patienter hemoglobinnivåer på över 9 g/dl utan behov av blodtransfusioner under minst 12 månader i följd.

Casgevy visades också vara effektivt när det gäller att förebygga smärtkriser vid sicklecellsjukdom. I en studie på patienter i åldern 12–35 år med svår sicklecellsjukdom hade 28 av 29 patienter inga smärtkriser under minst 12 månader i följd när de behandlades med Casgevy efter konditioneringsbehandling med kemoterapi. Inga patienter (0 av 29) behövde läggas in på sjukhus för smärtkriser under minst 12 månader i följd.

Vilka är riskerna med Casgevy?

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

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Casgevy (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är huvudvärk, illamående samt muskel- och skelettsmärta.

Läkare ska i varje enskilt fall överväga om patienten kan ges de nödvändiga förbehandlingar som behövs innan Casgevy ges.

Varför är Casgevy godkänt i EU?

Betatalassemi som kräver transfusioner och sicklecellsjukdom är allvarliga tillstånd för vilka behandlingsalternativen är begränsade. Även om studierna med Casgevy var små och det fanns osäkerhetsfaktorer kopplade till deras utformning visade de att engångsbehandling med läkemedlet kan minska behovet av transfusioner av röda blodkroppar hos patienter med betatalassemi och minska antalet smärtkriser hos patienter med sicklecellsjukdom.

Vad gäller säkerheten tolererades behandlingen i allmänhet väl och biverkningarna berodde som regel på konditioneringsbehandlingen med kemoterapi. Det kan finnas en teoretisk risk för cancer orsakad av oavsiktliga förändringar i det genetiska materialet, även om inga sådana fall har påträffats än så länge. Det finns också en potentiell risk för blödning eftersom läkemedlet kan orsaka en minskning av antalet trombocyter (komponenter som gör att blodet kan koagulera). Åtgärder har vidtagits för att övervaka sådana händelser genom en 15-årig registerbaserad studie.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Casgevy är större än riskerna och att Casgevy kan godkännas för försäljning i EU. Läkemedlet har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att företaget kommer att behöva lämna ytterligare belägg efter godkännandet.

Villkorat godkännande beviljas på grundval av mindre omfattande data än vad som normalt krävs. Det beviljas för läkemedel som tillmötesgår ett ouppfyllt medicinskt behov av att behandla allvarliga sjukdomar och när fördelarna med att ha dem tillgängliga tidigare uppväger riskerna vid användning av läkemedlen i väntan på ytterligare belägg. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år tills uppgifterna blir fullständiga och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

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

Företaget som marknadsför Casgevy kommer att tillhandahålla resultat från pågående studier för att ytterligare bedöma läkemedlets effekt och säkerhet. Företaget kommer också att tillhandahålla utbildningsmaterial till hälso- och sjukvårdspersonal som förväntas hantera läkemedlet, med information om hur läkemedlet ska ges och om dess säkerhet, inklusive potentiell cancerrisk och behovet av att övervaka patienternas trombocytnivåer. Patienterna kommer också att få en vägledning och ett kort som de ska bära med sig.

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

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

Mer information om Casgevy

Mer information om Casgevy finns på EMA:s webbplats:

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