



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorokubicel/oexpanderade CD34--celler*)

Sammanfattning av Zemcelpro och varför det är godkänt inom EU

Vad är Zemcelpro och vad används det för?

Zemcelpro är ett stamcellsläkemedel som används för att behandla vuxna med hematologiska maligniteter (blodkroppscancer) som behöver en transplantation av allogena hematopoetiska stamceller (allo-HSCT) och för vilka ingen annan typ av lämpliga donatorceller finns tillgänglig.

Allo-HSCT är ett förfarande där patientens benmärg (svampaktig vävnad inuti de större skelettbenen där blodkropparna bildas) rensas från celler. Därefter tillsätts celler från en passande donator. De transplanterade cellerna mångfaldigas och utvecklas till friska specialiserade blodkroppar och immunceller. Zemcelpro ges efter att patienterna fått konditioneringsbehandling (förberedande behandling) med cancerläkemedel för att rensa benmärgen från celler.

HSCT är ett sällsynt förfarande och Zemcelpro klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 22 april 2020 för användning hos patienter som behöver genomgå en HSCT. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Zemcelpro framställs specifikt för varje patient. Det innehåller två typer av stamceller från donerat navelsträngsblod: dorokubicel (expanderade CD34+-celler; expanderade innebär att cellerna har odlats och förökats i laboratorium) och oexpanderade CD34--celler.

Hur används Zemcelpro?

Zemcelpro är receptbelagt. Det måste administreras vid en kvalificerad transplantationsklinik med expertkunskap inom HSCT och av en läkare med erfarenhet av behandling av blodkroppscancer.

Zemcelpro ges en gång som enkeldos genom infusion (dropp) i en ven. En enkeldos av Zemcelpro består av 1–4 infusionspåsar innehållande dorokubicel och 4 påsar innehållande oexpanderade CD34--celler.

Före och efter behandlingen med Zemcelpro får patienterna andra läkemedel för att minska risken för reaktioner i samband med infusionen och för att förebygga transplantationskomplikationer.

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

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



Hur verkar Zemcelpro?

Zemcelpro används för att behandla patienter med blodcancer som behöver genomgå en allo-HSCT och för vilka ingen annan typ av lämpliga donatorceller finns tillgänglig.

Navelsträngsblodkroppar kan användas till dessa patienter, men för vissa patienter finns inget lämpligt navelsträngsblod att tillgå på grund av ett lågt antal stamceller i det donerade navelsträngsblodet. Ett lågt antal stamceller i navelsträngsblod kan fördröja implantationen (när de transplanterade cellerna börjar växa och bilda friska blodkroppar).

När det gäller Zemcelpro har vissa av stamcellerna från navelsträngen odlats och mångfaldigats i laboratorium och dessa kombineras sedan med oexpanderade celler från samma navelsträngsblod. De expanderade CD34+-cellerna främjar huvudsakligen tillväxten av friska blodkroppar, medan de oexpanderade CD34--cellerna stöder detta och hjälper även till att avlägsna alla kvarstående cancerceller. Efter infusionen migrerar stamcellerna från Zemcelpro till benmärgen, där de mångfaldigas, mognar och utvecklas till friska specialiserade blodkroppar och immunceller.

Vilka fördelar med Zemcelpro har visats i studierna?

Fördelarna med Zemcelpro visades i två huvudstudier som omfattade 25 patienter med leukemi eller myelodysplasi (typer av blodcancer) av hög riskgrad som behövde genomgå en allo-HSCT och för vilka ingen annan typ av lämpliga donatorceller fanns tillgänglig. I dessa studier, som är pågående, jämfördes inte Zemcelpro med någon annan behandling.

Studierna visade att den genomsnittliga tid det tog tills neutrofilimplantation uppnåddes hos patienterna (när de transplanterade cellerna börjar växa och bilda neutrofiler, en typ av vita blodkroppar) efter att de fått Zemcelpro var 20 dagar. Dag 42 hade neutrofilimplantation uppnåtts hos 21 av 25 patienter (84 procent).

Trombocytimplantation (när de transplanterade cellerna börjar växa och bilda trombocyter, som är komponenter som hjälper blodet att koagulera) uppnåddes dessutom hos patienterna efter i genomsnitt 40 dagar efter att de fått Zemcelpro. Dag 100 hade trombocytimplantation uppnåtts hos 17 av 25 patienter (68 procent).

Ovanstående resultat visar att transplantationen var framgångsrik och att nya blodkroppar började bildas i benmärgen.

Vilka är riskerna med Zemcelpro?

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

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Zemcelpro (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är lymfopeni (låga nivåer av lymfocyter, en typ av vita blodkroppar), infektioner, anemi (låga nivåer av röda blodkroppar), neutropeni (låga nivåer av neutrofiler), trombocytopeni (låga nivåer av trombocyter), leukopeni (låga nivåer av vita blodkroppar), hypogammaglobulinemi (sänkta nivåer av antikroppar i blodet), febril neutropeni (låga nivåer av neutrofiler med feber), hypertoni (högt blodtryck), implantationssyndrom (en komplikation av HSCT med symtom såsom feber, hudutslag och andra inflammatoriska svar) och pneumoni (lunginfektion). Akut transplantat-mot-värdsjukdom (GvHD, när donatorceller angriper kroppen strax efter en transplantation) rapporterades hos 60 procent av patienterna, och kronisk GvHD (som vanligtvis utvecklas senare än akut GvHD, inom flera veckor till månader efter en transplantation) rapporterades hos 16 procent av patienterna.

Biverkningar som ledde till dödsfall inträffade hos omkring 8 procent av de patienter som behandlades med Zemcelpro, däribland infektioner, akut GvHD, pulmonell alveolär blödning (en sjukdom där blödning uppstår i lungornas lungblåsor), pneumonit (inflammation i lungorna, t.ex. idiopatiskt pneumonisyndrom och kryptogen organiserad pneumoni) och pulmonell hypertension (högt blodtryck i blodkärlen som försörjer lungorna).

Varför är Zemcelpro godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet var det en klinisk utmaning att behandla patienter med blodkroppscancer som behövde genomgå en HSCT och för vilka ingen annan typ av lämpliga donatorceller fanns tillgänglig. Dessa patienter hade inga andra behandlingsalternativ att tillgå och en minimal chans till återhämtning.

Baserat på resultaten från ett litet antal patienter i de pågående studierna sågs en snabb, robust och varaktig återhämtning av neutrofiler och trombocyter efter behandling med Zemcelpro, vilket tyder på att Zemcelpro kan vara till nytta för dessa patienter. Säkerheten för Zemcelpro ansågs godtagbar för dessa patienter, som saknade andra behandlingsalternativ vid tidpunkten för godkännandet.

Zemcelpro har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande" för användning i EU. Detta innebär att det har beviljats på grundval av mindre omfattande data än vad som normalt krävs, eftersom det tillgodoser ett ouppfyllt medicinskt behov. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) anser att fördelarna med att ha läkemedlet tillgängligt tidigare uppväger riskerna vid användning av läkemedlet i väntan på ytterligare belägg.

Företaget måste lämna ytterligare data om Zemcelpro. Företaget måste lämna in slutresultaten från de två pågående huvudstudierna och två ytterligare studier med Zemcelpro och tillhandahålla data från en annan studie som bygger på ett register över patienter som behandlats med Zemcelpro. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år.

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

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

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

Mer information om Zemcelpro

Mer information om Zemcelpro finns på EMA:s webbplats:

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