



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 september 2021
EMA/546292/2021

CHMP stöder resultatet av den granskning som påvisar avsaknad av samband mellan virusvektorn i Zynteglo och blodcancer

Den 22 juli 2021 tillkännagav EMA:s kommitté för humanläkemedel (CHMP) sitt stöd för resultaten av en granskning där man fann att det inte finns någon evidens för att Zynteglo orsakar en blodcancer som kallas akut myeloisk leukemi (AML).

Zynteglo är ett genterapeutiskt läkemedel mot blodsjukdomen betatalassemi, som använder en virusvektor (eller ett modifierat virus) för att tillföra en fungerande gen till patientens blodkroppar.

I granskningen beaktades två fall av AML hos patienter som behandlades med ett prövningsläkemedel, bb1111, i en klinisk prövning för sicklecellanemi. Även om det inte finns några rapporter om AML i samband med Zynteglo använder båda läkemedlen samma virusvektor och det fanns farhågor om huruvida vektorn kunde vara inblandad i utvecklingen av cancer (genom insertionsonkogenes).

Granskningen, som utfördes av EMA:s säkerhetskommitté (PRAC) i samarbete med experter från kommittén för avancerade terapier (CAT), visade att det var osannolikt att virusvektorn skulle vara orsaken. Hos en av patienterna fanns inte virusvektorn i cancercellerna och hos den andra patienten fanns den på en plats (VAMP4) som inte tycks vara inblandad i utvecklingen av cancer.

Efter att ha granskat alla uppgifter var det tydligt att den konditioneringsbehandling som patienterna fick för att rensa bort benmärgsceller och den högre risken för blodcancer hos personer med sicklecellanemi var rimligare förklaringar till fallen av AML.

Även patienter med betatalassemi som behandlas med Zynteglo behöver konditioneringsbehandling för att rensa bort sina benmärgsceller innan de får Zynteglo. Hälso- och sjukvårdspersonal bör därför tydligt informera de patienter som får Zynteglo om den ökade risken för blodcancer som läkemedel för konditioneringsbehandlingar medför.

CHMP enades om en uppdatering av rekommendationerna för övervakning av patienter. Hälso- och sjukvårdspersonal bör hädanefter kontrollera sina patienter avseende tecken på blodcancer **minst** en gång om året i 15 år.¹

¹ Enligt den tidigare rekommendationen skulle hälso- och sjukvårdspersonal kontrollera om det fanns tecken på cancer en gång om året.



CHMP fann att fördelarna med Zynteglo fortsätter att vara större än riskerna. Liksom för alla läkemedel kommer EMA att övervaka alla nya data om dess säkerhet och vid behov uppdatera råden för patienter och hälso- och sjukvårdspersonal.

Information till patienter

- I EMA:s granskning fann man inga belägg för att virusvektorn i Zynteglo skulle orsaka blodcancer av typen akut myeloisk leukemi (AML).
- Zynteglo kommer fortsätta att användas på samma sätt som tidigare. Det kan dock hända att din läkare kallar dig till cancerscreening oftare än en gång om året.
- Vänd dig till din läkare om du har frågor kring din behandling.

Information till hälso- och sjukvårdspersonal

- EMA:s granskning leder till slutsatsen att det inte finns några belägg för att virusvektorn i Zynteglo skulle orsaka AML.
- Även om två av patienterna som fick samma virusvektor i ett annat läkemedel fick AML, finns det rimligare förklaringar än insertionsonkogenes, däribland den konditioneringsbehandling som patienterna genomgått och den högre risken för hematologisk cancer hos personer med sicklecellanemi.
- Hälso- och sjukvårdspersonal bör tydligt informera patienter som får Zynteglo om den ökade risken för blodcancer som läkemedel för konditioneringsbehandling medför.
- Hälso- och sjukvårdspersonal bör fortsätta att övervaka dessa patienter avseende cancer. EMA har uppdaterat sin rekommendation om cancerscreening och ändrat kravet från en gång om året till **minst** en gång om året.

Mer om läkemedlet

Zynteglo är en engångsbehandling som ges till patienter med blodsjukdomen betatalassemi som är 12 år eller äldre och som behöver regelbundna blodtransfusioner.

För att tillverka Zynteglo modifieras stamceller från patientens blod av ett virus som överför fungerande kopior av betaglobingenen till cellerna. När dessa modifierade celler återförs till patienten transporteras de via blodomloppet till benmärgen, där de börjar tillverka friska röda blodkroppar som producerar betaglobin. Effekterna av Zynteglo förväntas kvarstå under patientens livstid.

I maj 2019 beviljades Zynteglo ett villkorat godkännande för försäljning. Det villkorade godkännandet innebär att det ska komma ytterligare uppgifter om detta läkemedel och att företaget är skyldigt att lämna dessa uppgifter. EMA granskar regelbundet ny information som blir tillgänglig.

Mer om förfarandet

Granskningen av Zynteglo inleddes den 18 februari 2021 på begäran av Europeiska kommissionen, enligt [artikel 20 i förordning \(EG\) nr 726/2004](#).

Granskningen genomfördes först av kommittén för säkerhetsövervakning och riskbedömning av läkemedel (PRAC), som ansvarar för bedömningen av säkerheten hos humanläkemedel. Denna kommitté genomförde granskningen i nära samarbete med experter från [kommittén för avancerade terapier \(CAT\)](#).

PRAC:s rekommendationer skickades först till CAT, som antog ett utkast till yttrande den 16 juli 2021 i enlighet med PRAC:s rekommendationer, och därefter till kommittén för humanläkemedel (CHMP), som ansvarar för frågor rörande humanläkemedel. Den 22 juli 2021 antog CHMP myndighetens slutliga yttrande, med beaktande av CAT:s utkast till yttrande. CHMP:s yttrande översändes till Europeiska kommissionen, som den 16 september 2021 utfärdade ett slutligt rättsligt bindande beslut som gäller i alla EU:s medlemsstater.

Läkemedlet är inte längre godkänt för försäljning