



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/249031/2016
EMA/H/C/003854

Резюме на EPAR за обществено ползване

Strimvelis

Автоложна, обогатена с CD34+ клетки фракция, която съдържа CD34+ клетки, трансдуцирани с ретровирусен вектор, кодиращ човешката ADA кДНК последователност.

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Strimvelis. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Strimvelis.

За практическа информация относно употребата на Strimvelis, пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Strimvelis и за какво се използва?

Strimvelis е лекарство, което се използва за лечение на тежък комбиниран имунодефицит, дължащ се на дефицит на аденозин дезаминаза (ADA-SCID). ADA-SCID е рядко наследствено заболяване, при което има промяна (мутация) в гена, необходим за синтеза на един ензим, наречен аденозин дезаминаза (ADA). В резултат на това пациентите не притежават ензима ADA. Тъй като ADA е жизнено важен за поддържане на здрави лимфоцити (бели кръвни клетки, които се борят с инфекциите), имунната система на пациентите с ADA-SCID не функционира правилно и без ефективно лечение те рядко живеят повече от 2 години.

Strimvelis се използва при пациенти с ADA-SCID, които не могат да бъдат лекувани с костномозъчна трансплантация, поради липсата на подходящ съвместим донор.

Strimvelis съдържа клетки, получени от собствения костен мозък на пациента. Някои от клетките (наречени CD34+ клетки) са генетично модифицирани да съдържат работещ ген за ADA. Strimvelis е вид лекарствен продукт за модерна терапия, наречен „продукт за генна терапия“. Този вид лекарство действа чрез въвеждане на гени в организма.



Тъй като броят на пациентите с ADA-SCID е малък, болестта се счита за „рядка“ и Strimvelis е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 26 август 2005 г.

Как се използва Strimvelis?

Strimvelis се отпуска по лекарско предписание и лечението може да се прилага само в специализиран център за трансплантации от лекар с предишен опит в лечението на ADA-SCID и употребата на този вид лекарство.

За получаване на Strimvelis се събират две проби от костния мозък на пациента, една за получаване на Strimvelis и една, която се пази за резерва в случай, че Strimvelis не може да се приложи или не подейства. Strimvelis може да се използва за лечение само на същия пациент, чийто костен мозък е използван за направата на лекарството. Strimvelis се прилага като 20-минутна инфузия (вливане) във вена. Дозата зависи от телесното тегло на пациента.

Преди приложението на Strimvelis на пациентите се прилага подготвително лечение с друг лекарствен продукт - бусульфам, който унищожава техните увредени костномозъчни клетки. На пациентите се прилага също антихистаминова инжекция точно преди лечението, за да се намали риска от алергични реакции.

За повече информация вижте листовката.

Как действа Strimvelis?

За направата на Strimvelis се използва проба от костния мозък на пациента. След това от костномозъчните клетки се екстрахират CD34+ клетки (клетки, които могат да образуват лимфоцити). Работещ ген за ADA се внася в CD34+ клетките като се използва вирус, наречен ретровирус, който е променен генетично, така че да носи гена за ADA в клетките и да не причинява вирусно заболяване при хората.

След венозното му приложение на пациента, Strimvelis се транспортира от кръвообращението в костния мозък, където CD34+ клетките започват да се размножават и да образуват нормални лимфоцити, които могат да произведат ADA. Тези лимфоцити подобряват способностите на пациента да се бори с инфекциите и така да превъзмогне симптомите на заболяването, свързано с имунната система. Очакват се ефектите да останат за целия живот на пациента.

Какви ползи от Strimvelis са установени в проучванията?

Ползите от Strimvelis са показани в едно основно проучване, включващо 12 пациента на възраст от 6 месеца до около 6 години с ADA-SCID. Пациентите в проучването не са имали подходящ донор на костен мозък и не е имало алтернативно лечение или то е било неуспешно. Всички пациенти са лекувани със Strimvelis и са били все още живи 3 години след лечението. Честотата на тежки инфекции намалява след лечението и продължава да намалява по време на дългосрочното проследяване след третата година.

Какви са рисковете, свързани със Strimvelis?

Най-честата нежелана лекарствена реакция при Strimvelis (която е възможно да засегне не повече от 1 на 10 души) е пирексия (треска). Сериозните нежелани лекарствени реакции при Strimvelis може да включват ефекти, свързани с автоимунитета (когато имунната система атакува собствените клетки на организма), като хемолитична анемия (нисък брой на червени кръвни телца, дължащ се на твърде бързото им разрушаване), апластична анемия (нисък брой кръвни

елементи, дължащ се на увреден костен мозък), хепатит (възпаление на черния дроб), тромбоцитопения (нисък брой тромбоцити) и синдром на Guillain-Barré (увреждане на нервите, което води до болка, изтръпване, мускулна слабост и нарушено ходене).

Strimvelis не трябва да се използва при пациенти, болни от левкемия (рак на белите кръвни клетки) или миелодисплазия (вид нарушение на костния мозък) или са имали тези заболявания в миналото. Не трябва да се използва при пациенти, които имат положителна проба за вируса на човешкия имунодефицит (HIV - вирусът, който причинява СПИН) или други инфекции, или при пациенти, при които е прилагана генна терапия в миналото.

За пълния списък на ограниченията и нежеланите лекарствени реакции, съобщени при Strimvelis, вижте листовката.

Защо Strimvelis е разрешен за употреба?

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от Strimvelis са по-големи от рисковете, и препоръча Strimvelis да бъде разрешен за употреба в ЕС. Strimvelis предлага възможността за излекуване, което подобрява работата на имунната система при пациенти с ADA-SCID, което е животозастрашаващо заболяване. Резултатите от основното проучване показват, че Strimvelis е ефективен за подобряване на преживяемостта на пациентите с ADA-SCID. По отношение на поносимостта Strimvelis се понася относително добре, въпреки че данните са оскъдни поради малкия брой пациенти в проучването. Тъй като Strimvelis е произведен с използването на ретровирус, може да съществува потенциален риск от рак, предизвикан от непредвидени промени в генетичния материал, въпреки че такива случаи не са наблюдавани досега. Съществува също и потенциален риск от аутоимунно заболяване. Въпреки това са въведени мерки за наблюдение на подобни събития след употребата на лекарството, чрез регистър на пациентите за изследване на дългосрочното им развитие.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Strimvelis?

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Strimvelis се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и в листовката за Strimvelis, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

В допълнение, фирмата която произвежда Strimvelis ще предостави образователни материали за пациенти и здравни професионалисти с информация за лекарствения продукт, а пациентите ще трябва да подпишат информирано съгласие преди началото на лечението. Фирмата ще поддържа и регистър на пациентите, лекувани със Strimvelis, и ще наблюдава редовно тяхното развитие след лечението, за да проучи дългосрочната безопасност на лекарството.

Допълнителна информация за Strimvelis:

Пълният текст на EPAR за Strimvelis може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация относно лечението със Strimvelis прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Strimvelis може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).