



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR, sažetak za javnost

---

### Strimvelis

Stanična frakcija obogaćena autolognim CD34+ stanicama koja sadrži CD34+ stanice transducirane retrovirusnim vektorom koji kodira sekvencu cDNK humane adenoza deaminaze (ADA)

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Strimvelis. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o načinu korištenja lijeka Strimvelis.

Praktične informacije o korištenju lijeka Strimvelis pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

### Što je Strimvelis i za što se koristi?

Strimvelis je lijek koji se koristi u liječenju teške kombinirane imunodeficijencije uzrokovane nedostatkom adenzin deaminaze (engl. *severe combined immunodeficiency due to adenosine deaminase deficiency*, ADA-SCID). ADA-SCID rijetka je nasljedna bolest kod koje dolazi do promjene (mutacije) gena koji je potreban za proizvodnju enzima adenzin deaminaze (ADA). Kao rezultat toga, bolesnicima nedostaje enzim ADA. Budući da je enzim ADA ključan za održavanje limfocita (bijelih krvnih stanica koje štite od infekcija) zdravima, imunosni sustav bolesnika koji boluju od bolesti ADA-SCID ne funkcionira ispravno i stoga oni rijetko žive dulje od dvije godine bez učinkovitog liječenja.

Lijek Strimvelis primjenjuje se u bolesnika s bolešću ADA-SCID koje nije moguće liječiti presađivanjem koštane srži jer nemaju pogodnog, podudarnog, srodnog davatelja.

Lijek Strimvelis sadrži stanice dobivene iz bolesnikove koštane srži. Neke od stanica (koje se nazivaju CD34+ stanice) genetski su modificirane kako bi sadržavale radni gen za enzim ADA. Strimvelis je vrsta lijeka za napredno liječenje koji se naziva „lijek za gensku terapiju“. Ta vrsta lijeka djeluje tako da unosi gene u tijelo.



Budući da postoji mali broj bolesnika s bolešću ADA-SCID, bolest se smatra „rijetkom“ te se Strimvelis označava kao lijek za liječenje rijetkih bolesti od 26. kolovoza 2005.

## **Kako se Strimvelis koristi?**

Lijek Strimvelis izdaje se samo na liječnički recept, a liječenje smije provoditi samo liječnik s iskustvom u liječenju bolesti ADA-SCID i primjeni te vrste lijeka u specijalističkom transplantacijskom centru.

Za pripremu lijeka Strimvelis uzimaju se dva uzorka koštane srži bolesnika, jedan za pripremljanje lijeka i drugi koji se čuva kao pričuva u slučaju da se lijek ne može primijeniti ili ne djeluje. Lijek Strimvelis može se koristiti samo za liječenje onog bolesnika čija je koštana srž upotrijebljena za pripremljanje lijeka. Lijek Strimvelis daje se intravenskom infuzijom (drip) u trajanju od otprilike 20 minuta. Doza ovisi o tjelesnoj težini bolesnika.

Prije primjene lijeka Strimvelis bolesnici primaju kondicioniranu (pripremnu) terapiju drugim lijekom, busulfanom, kako bi se uklonile njihove abnormalne stanice koštane srži. Bolesnicima se također daje injekcija s antihistaminom netom prije davanja terapije kako bi se smanjio rizik od alergijskih reakcija.

Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

## **Kako djeluje Strimvelis?**

Za pripremljanje lijeka Strimvelis uzima se uzorak koštane srži bolesnika. Zatim se iz stanica koštane srži ekstrahiraju CD34+ stanice (stanice koje mogu proizvoditi limfocite). U CD34+ stanice unosi se radni gen za enzim ADA s pomoću vrste virusa koji se naziva retrovirus, a koji je genetski izmijenjen kako bi mogao prenositi gen za enzim ADA u stanice i koji ne uzrokuje virusnu bolest u ljudi.

Nakon što se ubrizga u venu bolesnika, lijek Strimvelis krvotokom se prenosi u koštanu srž gdje CD34+ stanice počnu rasti i stvarati normalne limfocite koji mogu proizvesti enzim ADA. Ti limfociti poboljšavaju sposobnost bolesnika da se bori protiv infekcije i tako prevlada simptome stanja povezanog s imunostimuliranim sustavom. Očekuje se da će učinci trajati tijekom cijelog bolesnikova života.

## **Koje su koristi lijeka Strimvelis utvrđene u ispitivanjima?**

Koristi lijeka Strimvelis utvrđene su u jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvaćalo 12 bolesnika u dobi od 6 mjeseci do otprilike 6 godina koji boluju od bolesti ADA-SCID. Bolesnici koji su sudjelovali u ispitivanju nisu imali odgovarajućeg davatelja koštane srži, a alternativno liječenje nije bilo uspješno ili nije bilo dostupno. Svi bolesnici liječeni su lijekom Strimvelis te su bili i dalje živi tri godine nakon liječenja. Učestalost ozbiljnih infekcija smanjila se nakon liječenja i nastavila se smanjivati u okviru dugoročnog praćenja nakon tri godine.

## **Koji su rizici povezani s lijekom Strimvelis?**

Najčešća je nuspojava lijeka Strimvelis (može se javiti u do 1 na 10 osoba) pireksija (vrućica). Teške nuspojave lijeka Strimvelis mogu uključivati učinke povezane s autoimunošću (kada imunološki sustav napadne vlastite stanice u tijelu) kao što su hemolitička anemija (smanjeni broj crvenih krvnih stanica zbog njihova brzog raspada), aplastična anemija (smanjen broj krvnih stanica zbog oštećene koštane srži), hepatitis (upala jetre), trombocitopenija (smanjen broj trombocita) i Guillain-Barréov sindrom (oštećenje živaca koje može prouzročiti bol, utrnulost, slabost u mišićima i teškoće pri hodanju).

Lijek Strimvelis ne smije se primjenjivati u bolesnika koji boluju od leukemije (rak bijelih krvnih stanica) ili mijelodisplazije (vrsta poremećaja koštane srži) ili u bolesnika koji su u prošlosti bolovali od tih bolesti. Ne smije se primjenjivati u bolesnika koji su pozitivni na virus humane imunodeficijencije

(HIV, virus koji uzrokuje AIDS) ili neke druge infekcije ili u bolesnika koji su prethodno liječeni genskom terapijom.

Potpuni popis svih ograničenja i nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Strimvelis potražite u uputi o lijeku.

## **Zašto je Strimvelis odobren?**

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji odlučio je da koristi od lijeka Strimvelis nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za korištenje u Europskoj uniji. Lijek Strimvelis pruža mogućnost liječenja koje poboljšava djelovanje imunskog sustava u bolesnika koji boluju od bolesti ADA-SCID koja je opasna po život. Rezultati glavnog ispitivanja pokazuju da lijek Strimvelis učinkovito djeluje na povećanje stope preživljavanja bolesnika koji boluju od bolesti ADA-SCID. U pogledu sigurnosti, pokazalo se da se lijek Strimvelis relativno dobro podnosi iako su podaci ograničeni zbog malog broja ispitanih bolesnika. Budući da se lijek Strimvelis proizvodi s pomoću retrovirusa, postoji mogući rizik od raka uzrokovanog nenamjernim promjenama u genetskom materijalu, iako do sada nisu zabilježeni takvi slučajevi. Postoji i mogući rizik od autoimune bolesti. Međutim, postoje mjere za praćenje takvih slučajeva čim počne primjena lijeka s pomoću registra bolesnika radi praćenja njihova dugoročnog napretka.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Strimvelis?**

Pripremljen je plan upravljanja rizikom kako bi se osigurala što sigurnija primjena lijeka Strimvelis. Na temelju tog plana, u sažetku opisa svojstava lijeka kao i u uputi o lijeku za lijek Strimvelis nalaze se sigurnosne informacije, uključujući odgovarajuće mjere opreza kojih se zdravstveni djelatnici i bolesnici trebaju pridržavati.

Osim toga, tvrtka koja proizvodi lijek Strimvelis osigurat će bolesnicima i zdravstvenim djelatnicima edukativne materijale s informacijama o lijeku, a bolesnici će morati potpisati suglasnost prije početka liječenja. Tvrtka će također voditi registar bolesnika liječenih lijekom Strimvelis te će redovito pratiti njihov napredak nakon liječenja radi ispitivanja dugoročne sigurnosti lijeka.

## **Ostale informacije o lijeku Strimvelis**

Cjeloviti EPAR za lijek Strimvelis nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o terapiji lijekom Strimvelis pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Strimvelis dostupan je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).