



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Strimvelis

avtologna, s CD34+ obogatena celična frakcija s celicami CD34+, transduciranimi z retrovirusnim vektorjem, ki kodira zaporedje človeške adenozin deaminaze (ADA) cDNA

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Strimvelis. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Strimvelis naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Strimvelis in za kaj se uporablja?

Zdravilo Strimvelis se uporablja za zdravljenje hude kombinirane imunske pomanjkljivosti zaradi pomanjkanja adenozin deaminaze (ADA-SCID). ADA-SCID je redka prirojena motnja, pri kateri gre za spremembo (mutacijo) gena, potrebnega za izdelovanje encima, imenovanega adenozin deaminaza (ADA). Zato imajo bolniki pomanjkanje encima ADA. Ker je ADA ključen za ohranjanje zdravih limfocitov (belih krvnih celic, ki premagujejo okužbe), imunski sistem bolnikov z ADA-SCID ne deluje pravilno in bolniki brez učinkovitega zdravljenja redko preživijo dlje kot dve leti.

Zdravilo Strimvelis se uporablja pri bolnikih z ADA-SCID, ki niso primerni za presaditev kostnega mozga, ker nimajo primerne, usklajene, sorodne dajalca.

Zdravilo Strimvelis vsebuje celice, pridobljene iz bolnikovega lastnega kostnega mozga. Nekatere celice (imenovane celice CD34+) so bile gensko spremenjene, da vsebujejo gen, ki izdeluje ADA. Zdravilo Strimvelis spada v skupino zdravil za napredno zdravljenje, ki se imenujejo „zdravila za gensko zdravljenje“. Gre za skupino zdravil, ki delujejo tako, da prenesejo gene v telo.

Ker je bolnikov z ADA-SCID malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Strimvelis 26. avgusta 2005 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).



Kako se zdravilo Strimvelis uporablja?

Izdaja zdravila Strimvelis je le na recept in dati ga sme le zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z ADA-SCID in uporabo tovrstnih zdravil.

Za pripravo zdravila Strimvelis se odvzameta dva vzorca bolnikovega kostnega mozga, eden za izdelavo zdravila Strimvelis in drugi kot rezervni vzorec v primeru, če zdravila Strimvelis ni mogoče dati ali če ne deluje. Zdravilo Strimvelis se uporablja le za zdravljenje bolnika, čigar kostni mozeg je bil uporabljen za izdelavo zdravila. Zdravilo Strimvelis se daje v infuziji (kapalni) v veno, ki traja približno 20 minut. Odmerek je odvisen od telesne mase bolnika.

Preden se uporabi zdravilo Strimvelis, bo bolnik prejel predpripravo pred zdravljenjem z drugim zdravilom, busulfanom, da se odstranijo nenormalne celice kostnega mozga. Bolniki bodo tik pred začetkom zdravljenja prejeli tudi intravenski antihistaminik, da se zmanjša tveganje za alergijske reakcije.

Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Strimvelis deluje?

Za izdelavo zdravila Strimvelis se odvzame vzorec bolnikovega kostnega mozga. Nato se iz celic kostnega mozga pridobijo celice CD34+ (celice, ki izdelujejo limfocite). Gen, ki izdeluje ADA, se vstavi v celice CD34+ z uporabo vrste virusa, imenovanega retrovirus, ki je bil genetsko spremenjen, da lahko prenaša gen ADA v celice in ne povzroči virusnih bolezni pri ljudeh.

Po dajanju zdravila Strimvelis v veno se zdravilo prenese po krvnem obtoku do kostnega mozga, kjer celice CD34+ začnejo rasti in izdelovati normalne limfocite, ki proizvajajo ADA. Ti limfociti izboljšajo bolnikovo zmožnost bojevanja proti okužbam in tako premagajo simptome bolezenskih stanj, ki so povezana z imunskim sistemom. Pričakovano je, da učinki trajajo vse življenje.

Kakšne koristi je zdravilo Strimvelis izkazalo v študijah?

Koristi zdravila Strimvelis so se izkazale v eni glavni študiji z 12 bolniki z ADA-SCID, starimi od 6 mesecev do približno 6 let. Bolniki v študiji niso imeli primerne dajalca kostnega mozga in alternativno zdravljenje ni delovalo oziroma ni bilo na voljo. Vsi bolniki so se zdravili z zdravilom Strimvelis in so tri leta po zdravljenju še živeli. Delež hudih okužb se je po zdravljenju zmanjšal in se je v dolgoročnem spremljanju po obdobju treh let še zmanjševal.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Strimvelis?

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Strimvelis (ki lahko prizadene največ 1 osebo od 10) je povišana telesna temperatura (pireksija). Resni neželeni učinki zdravila Strimvelis so lahko povezani z avtoimunskimi motnjami (ko imunski sistem napade celice lastnega telesa), kot so hemolitična anemija (nizka raven rdečih krvnih celic zaradi njihove prehitre razgradnje), aplastična anemija (nizka raven krvnih celic zaradi okvare kostnega mozga), hepatitis (vnetje jeter), trombocitopenija (nizka raven trombocitov) in Guillain-Barréjev sindrom (poškodba živcev, ki lahko povzroči bolečino, odrevenelost, mišično oslabeledost in težave pri hoji).

Zdravila Strimvelis ne smejo dobiti bolniki, ki imajo ali so v preteklosti imeli levkemijo (rak belih krvnih celic) ali mielodisplazijo (vrsto bolezni kostnega mozga). Ne sme se uporabljati pri bolnikih, ki imajo pozitiven izvid testiranja za okužbo z virusom humane imunske pomanjkljivosti (virusom HIV, ki povzroča aids) ali kakšno drugo okužbo, in bolnikih, ki so v preteklosti že bili zdravljeni z genskim zdravljenjem.

Za celoten seznam omejitev in neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Strimvelis, glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Strimvelis odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da so koristi zdravila Strimvelis večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU. Zdravilo Strimvelis omogoča možnost zdravljenja, ki izboljšuje delovanje imunskega sistema pri bolnikih z ADA-SCID, ki je življenjsko nevarna bolezen. Rezultati glavne študije kažejo, da je zdravilo Strimvelis učinkovito pri izboljševanju preživetja pri bolnikih z ADA-SCID. Kar zadeva varnost, so bolniki zdravilo Strimvelis prenašali sorazmerno dobro, čeprav so podatki omejeni zaradi majhnega števila preiskovanih bolnikov. Ker se zdravilo Strimvelis izdelava z uporabo retrovirusa, obstaja potencialno tveganje za raka zaradi nenačrtovanih sprememb genskega materiala, čeprav do zdaj niso opazili takih primerov. Obstaja tudi tveganje za avtoimunske bolezni. Vzpostavljeni so ukrepi za spremljanje takih dogodkov po uporabi zdravila, in sicer z vključitvijo bolnikov v register za proučevanje njihovega dolgoročnega napredka.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Strimvelis?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Strimvelis je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Poleg tega bo družba, ki izdeluje zdravilo Strimvelis, priskrbelala izobraževalna gradiva za bolnike in zdravstvene delavce z informacijami o zdravilu, bolniki pa bodo morali pred začetkom zdravljenja podpisati obrazec o soglasju. Družba bo prav tako vodila register bolnikov, zdravljenih z zdravilom Strimvelis, in redno spremljala njihov napredek po zdravljenju, da bi proučila dolgoročno varnost zdravila.

Druge informacije o zdravilu Strimvelis

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Strimvelis je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Strimvelis preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Strimvelis je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).