



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Rezumat EPAR destinat publicului

---

### Strimvelis

Fracție celulară autologă îmbogățită cu celule CD34+ care conține celule CD34+ transduse cu vector retroviral care codifică secvența umană pentru ADA din cADN

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Strimvelis. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Strimvelis.

Pentru informații practice privind utilizarea Strimvelis, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

### Ce este Strimvelis și pentru ce se utilizează?

Strimvelis este un medicament utilizat pentru tratarea imunodeficienței combinate severe cauzate de deficitul de adenzin dezaminază (ADA-SCID). ADA-SCID este o afecțiune ereditară rară în care există o modificare (mutație) a genei necesare pentru producerea unei enzime numite adenzin dezaminază (ADA). Drept urmare, pacienților le lipsește enzima ADA. Deoarece ADA este esențială pentru menținerea viabilității limfocitelor (globule albe care luptă împotriva infecțiilor), sistemul imunitar al pacienților cu ADA-SCID nu funcționează în mod adecvat și, fără un tratament eficace, aceștia rareori supraviețuiesc mai mult de 2 ani.

Strimvelis se utilizează la pacienții cu ADA-SCID care nu pot fi tratați prin transplant de măduvă osoasă deoarece nu au nicio rudă care să fie donator compatibil și potrivit.

Strimvelis conține celule obținute din măduva osoasă proprie a pacientului. Anumite celule (numite celule CD34+) au fost modificate genetic pentru a include o genă funcțională pentru ADA. Strimvelis este un tip de medicament pentru terapie avansată numit „produs pentru terapie genică”. Acest tip de medicament acționează prin eliberarea de gene în organism.



Din cauza numărului mic de pacienți cu ADA-SCID, boala este considerată „rară”, iar Strimvelis a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 26 august 2005.

## **Cum se utilizează Strimvelis?**

Strimvelis se poate obține numai pe bază de rețetă, iar tratamentul trebuie administrat numai într-un centru specializat în transplant, de către un medic cu experiență în tratamentul pacienților cu ADA-SCID și în utilizarea acestui tip de medicament.

Pentru a prepara Strimvelis, se recoltează două eșantioane din măduva osoasă a pacientului, unul pentru prepararea Strimvelis, iar celălalt pentru a fi păstrat ca rezervă în caz că Strimvelis nu se poate administra sau nu este eficace. Strimvelis se poate utiliza exclusiv pentru tratarea pacientului a cărui măduvă osoasă a fost utilizată pentru producerea medicamentului. Strimvelis se administrează sub formă de perfuzie (picurare în venă) timp de aproximativ 20 de minute. Doza depinde de greutatea corporală a pacientului.

Înainte de administrarea Strimvelis, pacienții primesc tratament de condiționare (pregătitor) cu un alt medicament, busulfan, pentru a elimina celulele de măduvă osoasă anormale. Pentru a reduce riscul de reacții alergice, pacienților li se administrează și o injecție cu un antihistaminic imediat înainte de tratament.

Pentru mai multe informații, consultați prospectul.

## **Cum acționează Strimvelis?**

Pentru a produce Strimvelis, se recoltează un eșantion din măduva osoasă a pacientului. Apoi, din celulele de măduvă osoasă se extrag celulele CD34+ (celule care pot produce limfocite). În celulele CD34+ se introduce o genă funcțională pentru ADA, utilizând un tip de virus numit retrovirus care a fost modificat genetic astfel încât să poată transporta gena ADA în celule și să nu cauzeze o boală virală la om.

După readministrarea în vena pacientului, Strimvelis este transportat de sânge către măduva osoasă, unde celulele CD34+ încep să se dezvolte și să producă limfocite normale care pot genera ADA. Aceste limfocite îmbunătățesc capacitatea pacientului de a lupta împotriva infecțiilor, neutralizând astfel simptomele afecțiunii asociate sistemului imunitar. Se așteaptă ca efectele să se mențină pe toată durata vieții pacientului.

## **Ce beneficii a prezentat Strimvelis pe parcursul studiilor?**

Beneficiile Strimvelis au fost demonstrate într-un studiu principal care a cuprins 12 pacienți cu ADA-SCID, cu vârste cuprinse între 6 luni și aproximativ 6 ani. Pacienții din studiu nu aveau un donator compatibil de măduvă osoasă, iar tratamentul alternativ nu funcționase sau nu era disponibil. Toți pacienții au fost tratați cu Strimvelis și erau încă în viață la 3 ani după tratament. Rata infecțiilor severe a scăzut după tratament și a continuat să scadă la urmărirea pe termen lung după cei 3 ani.

## **Care sunt riscurile asociate cu Strimvelis?**

Cel mai frecvent efect secundar asociat cu Strimvelis (care poate afecta cel mult 1 persoană din 10) este piroxia (febra). Printre efectele secundare grave asociate cu Strimvelis se pot număra efecte legate de autoimunitate (atacarea propriilor celule ale organismului de către sistemul imunitar), cum ar fi anemie hemolitică (număr scăzut de globule roșii cauzat de distrugerea prea rapidă a acestora), anemie aplastică (număr scăzut de celule sanguine din cauza deteriorării măduvei osoase), hepatită

(inflamație a ficatului), trombocitopenie (număr scăzut de trombocite) și sindrom Guillain-Barré (deteriorări ale nervilor care pot duce la durere, amorțeală, slăbiciune musculară și dificultăți la mers).

Strimvelis este contraindicat la pacienții cu leucemie (cancer al globulelor albe) sau cu mielodisplazie (un tip de tulburare a măduvei osoase) sau care au avut aceste afecțiuni în trecut. Medicamentul este contraindicat la pacienții care au avut rezultate pozitive la testul pentru virusul imunodeficienței umane (HIV, virusul care cauzează SIDA) sau pentru anumite alte infecții sau la pacienții tratați anterior prin terapie genică.

Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Strimvelis, consultați prospectul.

## **De ce a fost aprobat Strimvelis?**

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că beneficiile Strimvelis sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE. Strimvelis oferă șansa unei vindecări care ameliorează activitatea sistemului imunitar pentru pacienții cu ADA-SCID, care este o afecțiune potențial mortală. Rezultatele obținute din studiul principal au dovedit că Strimvelis este eficace în îmbunătățirea supraviețuirii pacienților cu ADA-SCID. În ceea ce privește siguranța, Strimvelis a fost relativ bine tolerat, deși datele sunt limitate din cauza numărului mic de pacienți studiați. Deoarece Strimvelis se produce utilizând un retrovirus, poate exista un risc potențial de cancer cauzat de modificări neintenționate ale materialului genetic, cu toate că până în prezent nu au fost observate astfel de cazuri. De asemenea, există un risc potențial de boală autoimună. Totuși, sunt instituite măsuri pentru monitorizarea unor astfel de evenimente după inițierea utilizării medicamentului, folosindu-se un registru al pacienților în scopul studierii evoluției pe termen lung a acestora.

## **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Strimvelis?**

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Strimvelis să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Strimvelis au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

În plus, compania care produce Strimvelis va furniza pacienților și profesioniștilor din domeniul sănătății materiale educaționale cu informații privind medicamentul, iar pacienții vor trebui să semneze un formular de consimțământ înainte de inițierea tratamentului. De asemenea, compania va menține un registru al pacienților tratați cu Strimvelis și va monitoriza progresele acestora în mod regulat după tratament pentru a studia siguranța pe termen lung a medicamentului.

## **Alte informații despre Strimvelis**

EPAR-ul complet pentru Strimvelis este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Strimvelis, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Strimvelis este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).