

COMUNICAT DE PRESĂ

Agencia Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene a Medicamentului (European Medicines Agency = EMA) referitor la recomandarea spre autorizare pentru punere pe piață în Uniunea Europeană a primelor două medicamente care conțin celule CAR-T, Kymriah și Yescarta, a căror dezvoltare a fost facilitată prin Inițiativa PRIME

29 iunie 2018

Comunicat de presă EMA

referitor la recomandarea spre autorizare pentru punere pe piață în Uniunea Europeană a primelor două medicamente care conțin celule CAR-T, Kymriah și Yescarta, a căror dezvoltare a fost facilitată prin Inițiativa PRIME

Agencia Europeană a Medicamentului (EMA) a recomandat spre autorizare pentru punere pe piață în Uniunea Europeană primele două medicamente care conțin celule CAR¹-T. Medicamentele Kymriah (tisagenlecleucel) și Yescarta (axicabtagene ciloleucel) se utilizează în terapiile avansate ale cancerului de sânge și aparțin unei noi generații de imunoterapii personalizate împotriva cancerului, care se bazează pe colectarea de celule imune proprii ale pacienților și modificarea acestora pentru tratarea cancerului de care suferă aceleași persoane.

Kymriah și Yescarta sunt totodată și primele medicamente care au beneficiat de susținerea Inițiativei EMA cunoscute sub titlul de PRIority MEDicines (PRIME)², primind avizul pozitiv al Comitetului EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use=CHMP). Această inițiativă organizată pe bază de voluntariat constă din oferirea de sprijin științific și de reglementare sporit încă din etapele precoce de dezvoltare a medicamentelor cu potențial terapeutic semnificativ în cazul unor nevoi medicale rămase neacoperite. Medicamentele Kymriah și Yescarta au fost considerate eligibile în vederea includerii în Inițiativa PRIME la data de 23 iunie 2016, ca tratament al leucemiei limfoblastice acute (LLA) și, respectiv, la data de 26 mai 2016, pentru tratarea limfoamelor cu celule B difuze mari (LCBDM).

¹ receptori de antigen chimeric (chimeric antigen receptors=CAR)

²http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000660.jsp&mid=WC0b01ac05809f8439

Conform declarației dr. Martina Schüssler-Lenz, președinta Comitetului EMA pentru terapii avansate (Committee for Advanced Therapie = CAT), „Terapia cu celule CAR-T dă o nouă formă luptei din UE împotriva unor boli grave și adesea letale, medicamentele Kymriah și Yescarta oferind o abordare inovatoare, care constă din reprogramarea celulelor pacienților și reintroducerea acestora în organism pentru a declanșa atacul împotriva cancerului”.

Deoarece Kymriah și Yescarta sunt medicamente pentru terapie avansată, acestea au fost evaluate atât de către CHMP cât și de către CAT, comitetul de experți al EMA care se ocupă de medicamentele bazate pe celule, gene sau țesuturi și de evaluarea acestora. În cadrul CAT se adoptă un aviz consultativ, avut în vedere de către CHMP în recomandarea privitoare la autorizarea medicamentului în cauză.

Așa cum observa dr. Tomas Salmonson, președintele CHMP. „Tratamentele inovatoare precum cel cu celule CAR-T pot schimba perspectivele pacienților cu cancer, fiind însoțite însă și de noi provocări de natură științifică și de reglementare. S-au făcut eforturi încă de la bun început pentru instituirea unui sistem eficace de colectare a datelor în faza post-autorizare, care să corespundă specificului acestor două medicamente. S-a folosit o gamă largă de instrumente, printre care, pentru a menționa numai câteva, se pot enumera oferirea de consiliere științifică, organizarea unui grup specific cu privire la registrele de pacienți aflați în tratament cu medicamente cu celule CAR-T, includerea în Inițiativa PRIME, care să ne permită stabilirea unor metode de monitorizare strictă a profilului beneficiu-risc al acestor medicamente și abordarea riscurilor după punerea pe piață, astfel încât pacienții să poată beneficia efectiv de aceste tratamente inovatoare”.

Principalele probleme de siguranță asociate cu administrarea de celule CAR-T sunt sindromul de eliberare de citokine, o reacție sistemică la activarea și proliferarea celulelor CAR-T, care determină febră cu valori mari și simptome asemănătoare gripei, precum și toxicitatea neurologică, ambele putând pune în pericol viața pacientului sau, în unele cazuri, pot duce la decesul acestuia. Strategiile de monitorizare și reducere a acestor efecte secundare sunt descrise în Informațiile despre medicament și în planul de management al riscurilor care face parte integrantă din autorizație. Sindromul de eliberare de citokine se poate trata cu succes cu medicamentul RoActemra (tocilizumab), CHMP recomandând adăugarea la indicațiile acestuia și a tratamentului sindromului de eliberare de citokine determinat de administrarea de celule CAR-T.

O altă măsură importantă de abordare a riscurilor asociate cu medicamentele Kymriah și Yescarta este utilizarea unui registru de pacienți, destinat

monitorizării siguranței și eficacității pe termen lung a acestor terapii, prevăzută ca o condiție pentru autorizarea pentru punere pe piață. Instituirea și folosirea registrelor de pacienți pentru sprijinirea evaluării raportului beneficiu-risc al medicamentelor cu celule CAR-T și urmărirea acestora în perioada de post-autorizare au fost discutate în cadrul unui grup specific, organizat la începutul anului 2018, ca parte constituantă a inițiativei EMA privind registrele de pacienți. În plus, EMA a calificat un registru pentru colectarea datelor privind siguranța și eficacitatea în perioada post-autorizare, avizul de calificare respectiv fiind în prezent disponibil spre consultare publică.

Medicamentul Kymriah este indicat pentru tratamentul pacienților copii, adolescenți și adulți tineri (cu vârsta până la 25 de ani) cu leucemie limfoblastică cu celule B acută, refractară la tratament sau în recidivă secundară sau ulterioară și la pacienți adulți cu limfom cu celule B mari difuz, recidivat sau refractar la tratament după administrarea a două sau mai multor linii de terapie sistemică.

Medicamentul Yescarta este indicat pentru tratamentul pacienților adulți cu limfom cu celule B mari difuz, recidivat sau refractar la tratament după administrarea a două sau mai multor linii de terapie sistemică, incluzând limfomul mediastinal primar cu celule B mari.

Avizele adoptate de CHMP reprezintă un pas intermediar pe calea realizării accesului pacienților la medicamentele Kymriah și Yescarta. Avizele respective urmează a fi transmise Comisiei Europene în vederea adoptării deciziilor privind autorizațiile de punere pe piață la nivelul întregii UE.

Odată acordate autorizațiile de punere pe piață, la nivelul fiecărui stat membru se vor lua deciziile necesare privind prețul și rambursarea medicamentelor în cauză, având în vedere rolul/utilizarea posibilă a acestor medicamente în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

În rapoartele publice europene de evaluare pentru medicamentele respective (EPAR), care a fi urmează publicate, se vor putea găsi informații detaliate privind sprijinul oferit de EMA pe parcursul dezvoltării acestora, inclusiv informații referitoare la temele pentru care s-a acordat consiliere științifică și la evaluarea celor două medicamente.

Observații

1. Solicitantul de autorizare pentru punere pe piață pentru medicamentul Kymriah este Novartis Europharm Limited.
2. Solicitantul de autorizare pentru punere pe piață pentru medicamentul Yescarta este Kite Pharma EU B.V.

Așa cum se obișnuiește la momentul aprobării, Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products =COMP) va analiza desemnarea acestora ca medicamente orfane pentru a stabili dacă informațiile disponibile în prezent permit menținerea statutului de orfan pentru medicamentele Kymriah și Yescarta precum și acordarea a zece ani de exclusivitate pe piață pentru produsele respective.

4. Mai multe informații referitoare la activitatea Agenției Europene a Medicamentului se pot găsi pe website-ul acesteia, la adresa: www.ema.europa.eu