

COMUNICAT DE PRESĂ

Agencia Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din România prezintă în cele ce urmează traducerea și adaptarea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene pentru Medicamente (European Medicines Agency - EMA):

O nouă terapie cu celule stem pentru tratarea pacienților cu cancer ale celulelor sanguine

19 Iunie 2025

EMA/CHMP/202413/2025

Medicamentul Zemcelpro oferă o opțiune pentru pacienții cu cancer al celulelor sanguine care au nevoie de un transplant de celule stem sanguine și nu au un donator compatibil

EMA a recomandat acordarea unei autorizații condiționate de punere pe piață în Uniunea Europeană (UE) pentru medicamentul Zemcelpro (dorocubicel/celule neexpandate de la nivelul cordonului ombilical) pentru tratarea adulților cu afecțiuni maligne hematologice (cancer ale celulelor sanguine). Medicamentul Zemcelpro poate fi utilizat la pacienții care necesită un transplant cu celule stem alogene hematopoietice (alo-HSCT, transplant de celule stem de la un donator), după condiționare mieloablativă (chimioterapie și/sau radioterapie), pentru care nu sunt disponibile alte tipuri de celule compatibile din partea donatorilor.

Cancerle hematologice sunt tipuri de cancer ale celulelor sanguine, clasificate în funcție de locul în care sunt depistate inițial, printre care leucemii (sânge), limfoame (ganglioni limfatici), sindrom mielodisplazic și mieloame (măduva osoasă). Sunt tipuri de cancer diagnosticate frecvent, iar singura opțiune de tratament curativ potențial pentru mai multe dintre aceste tipuri de cancer este alo-HSCT. Acest tip de transplant implică utilizarea celulelor stem de la donator pentru a înlocui celulele măduvei osoase ale primitorului și a forma măduvă osoasă nouă, care să producă celule sanguine sănătoase.

Celulele stem utilizate pentru transplant provin, de preferință, de la un donator compatibil, inclusiv un frate sau o soră compatibilă sau un donator compatibil neînrudit. Celulele sanguine de la nivelul cordonului ombilical pot fi utilizate la pacienții care nu au acces la niciun tip de donator compatibil. Cu toate acestea, numărul de celule stem sanguine de la nivelul cordonului ombilical este adesea

scăzut și poate întârzia grefarea, stabilirea cu succes și proliferarea celulelor stem donatoare la nivelul măduvei osoase a primitorului.

Medicamentul Zemcelpro reprezintă o terapie celulară care conține celule stem sanguine de la nivelul cordonului ombilical al unui donator, dintre care unele au fost cultivate și multiplicare (dorocubicel). Prin înmulțirea numărului de celule, medicamentul Zemcelpro are rol în eficientizarea celulelor stem dintr-o unitate mică de sânge de la nivelul cordonului ombilical.

Medicamentul Zemcelpro a fost susținut prin schema PRIME (Priority Medicine) a EMA, care oferă sprijin științific și de reglementare timpuriu și sporit pentru medicamentele cu potențial deosebit de a răspunde nevoilor medicale neacoperite ale pacienților.

Recomandarea se bazează în mare parte pe o analiză cumulată a două studii clinice deschise, cu un singur braț de tratament, care au inclus 25 de pacienți. În total, 21/25 (84%) pacienți au obținut grefarea neutrofilelor (atunci când celulele stem ale donatorului se stabilesc cu succes în măduva osoasă a receptorului și produc neutrofile, un tip de globule albe) într-un interval median de 20 de zile, iar 17 (68%) pacienți au obținut grefarea trombocitelor (plachetelor sanguine) într-un interval median de 40 de zile.

Cele mai frecvente reacții adverse observate într-un grup extins de 116 pacienți tratați cu acest medicament includ niveluri scăzute ale diferitelor tipuri de celule sanguine și ale anticorpilor care ajută la combaterea infecțiilor, tensiune arterială crescută, infecții și sindrom de grefare, o afecțiune inflamatorie care poate apărea după HSCT. Boala grefă contra gazdă acută (GvHD), în care celulele donate/transplantate atacă organismul la scurt timp după transplant, a fost raportată în 60% dintre cazuri până la 100 de zile după transplant, iar GvHD cronic, apărut până la un an după transplant, a fost raportat în 13% dintre cazuri. Strategiile de monitorizare și atenuare a acestor reacții adverse sunt descrise în informațiile despre medicament și în planul de management al riscurilor.

În evaluarea generală a datelor disponibile, Comitetul pentru terapii avansate (CAT), comitetul de experți al EMA pentru medicamentele de terapie celulară și genică, a constatat că beneficiile terapiei depășesc posibilele riscuri la pacienții cu cancer ale sângelui care necesită allo-HSCT și nu au celule donatoare compatibile disponibile. CHMP, comitetul pentru medicamente de uz uman al EMA, a fost de acord cu evaluarea și opinia pozitivă a CAT și a recomandat aprobarea acestui medicament.

Medicamentul Zemcelpro este recomandat pentru o autorizație condiționată de punere pe piață, unul dintre mecanismele de reglementare ale UE care facilitează accesul timpuriu la medicamente care satisfac o nevoie medicală neacoperită. Acest

tip de aprobare permite Agenției să recomande un medicament pentru autorizație de punere pe piață pe baza unui set de date mai puțin complete decât cel necesar în mod normal, dacă beneficiul disponibilității imediate a unui medicament pentru pacienți depășește riscul asociat lipsei unor date clinice complete.

Pentru a confirma siguranța și eficacitatea terapiei, companiei i s-a cerut să furnizeze rezultatele pe termen lung ale studiilor cu un singur braț de tratament, să desfășoare un studiu controlat randomizat și un studiu bazat pe un registru de pacienți.

Opinia adoptată de CHMP reprezintă un pas intermediar în ceea ce privește accesul pacienților la această nouă terapie celulară. Opinia va fi trimisă Comisiei Europene pentru adoptarea unei decizii privind acordarea unei autorizații de punere pe piață la nivel UE. Odată ce autorizația de punere pe piață a fost acordată, deciziile privind prețul și rambursarea vor avea loc la nivelul fiecărui stat membru, ținând cont de rolul sau utilizarea potențială a acestui medicament în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Note

1. Acest comunicat de presă, împreună cu toate documentele aferente, este disponibil pe website-ul Agenției, la adresa: www.ema.europa.eu.
2. Solicitantul autorizației de punere pe piață pentru medicamentul Zemcelpro este Cordex Biologics International Limited.
3. Medicamentul Zemcelpro a fost admis ca fiind eligibil pentru schema PRIME (Priority Medicine) pe 10 Decembrie 2020, pentru transplanturi urgente de celule stem hematopoietice alogene.
4. Medicamentul Zemcelpro a fost desemnat ca medicament orfan pe 22 Aprilie 2020, pentru transplanturi de celule stem hematopoietice. În urma acestei opinii pozitive a CHMP, [Comitetul pentru medicamente orfane](#) (Committee for Orphan Medicinal Products – COMP) va evalua dacă se impune menținerea desemnării statutului de „medicament orfan”.