

COMUNICAT DE PRESĂ

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

Nou tratament pentru pacienții adulți cu leucemie limfoblastică acută

22 Mai 2025
EMA/CHMP/167490/2025

A treia terapie cu celule CAR-T pentru cancer cu rată de mortalitate ridicată

EMA a recomandat acordarea unei autorizații condiționate de punere pe piață în Uniunea Europeană (UE) pentru medicamentul Aucatzyl (obcabtogene autoleucel), utilizat în tratamentul pacienților adulți cu vârsta de 26 de ani și peste, cu leucemie acută limfoblastică recidivantă sau refractară (LAL) cu precursori de celule B.

Leucemia acută limfoblastică (LAL) este un cancer galopant, care poate pune viața în pericol, afectând sângele și măduva osoasă, cu impact îndeosebi asupra celulelor albe ale sângelui (limfocite). LAL recidivantă revine, după tratament, iar cea refractară nu răspunde la tratamentul inițial. În ciuda mai multor opțiuni terapeutice disponibile, această afecțiune este asociată cu o mortalitate semnificativă și o rată scăzută de supraviețuire.

Aucatzyl este o terapie cu celule T autologe, modificate genetic, care conțin un receptor antigen chimeric anti-CD19 (CAR), un tip de imunoterapie personalizată pentru cancer, care se bazează pe colectarea și modificarea propriilor celule imune ale pacientului pentru a-și trata cancerul. Celulele T modificate se atașează la celulele canceroase, pe care le distrug, contribuind astfel la eradicarea cancerului din organism.

Aucatzyl a fost susținut prin schema PRIME (Priority Medicines) - PRIME, care oferă sprijin științific și de reglementare timpuriu și avansat medicamentelor cu potențial particular de a răspunde nevoilor medicale nesatisfăcute ale pacienților.

Recomandarea se bazează pe rezultatele unui studiu în regim deschis, cu un singur braț (studiul FELIX), efectuat pe 113 pacienți. Aproximativ 64% dintre pacienți au avut un răspuns durabil (o perioadă fără semne sau simptome de boală, după tratament), cu o durată mediană de 14 luni. Aproximativ 49% au manifestat un răspuns complet, ceea ce înseamnă că semnele cancerului au dispărut.

Cele mai frecvente reacții adverse observate includ sindromul de eliberare a citokinelor (o afecțiune care poate pune viața în pericol, putând provoca febră mare, vărsături, respirație sacadată, durere și hipotensiune arterială), sindrom de neurotoxicitate asociat celulelor efectoare imune (o afecțiune care include tulburări de limbaj, convulsii, dureri de cap, halucinații și confuzie mintală) și infecții. Strategiile de monitorizare și atenuare ale acestor reacții adverse sunt descrise în informațiile despre medicament și în planul de gestionare a riscurilor.

În evaluarea generală a datelor disponibile, Comitetul pentru Terapii Avansate (CAT), comitetul de experți al EMA care se ocupă de medicamentele bazate pe celule și gene, a constatat că beneficiile medicamentului Aucatzyl au depășit riscurile posibile la pacienții cu LAL. CHMP, Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman, a fost de acord cu evaluarea și opinia pozitivă a Comitetului pentru Terapii Avansate și a recomandat aprobarea acestui medicament.

Medicamentul Aucatzyl este recomandat pentru obținerea unei autorizații condiționate de punere pe piață, unul dintre mecanismele de reglementare ale UE pentru a facilita accesul timpuriu la medicamente care îndeplinesc o nevoie medicală nesatisfăcută. Acest tip de aprobare permite Agenției să recomande un medicament pentru obținerea unei autorizații de punere pe piață cu date mai puțin complete decât s-ar aștepta în mod normal, dacă beneficiul disponibilității imediate a unui medicament pentru pacienți depășește riscul inerent faptului că nu toate datele sunt încă disponibile.

Pentru a confirma siguranța și eficacitatea medicamentului Aucatzyl, companiei i s-a solicitat să prezinte rezultate ale urmăririi pe termen lung a studiului FELIX și să efectueze un studiu observațional non-intervențional, bazat pe un registru de pacienți.

Opinia adoptată de CHMP reprezintă un pas intermediar către accesul pacienților la medicamentul Aucatzyl. Avizul va fi trimis Comisiei Europene pentru adoptarea unei decizii referitoare la emiterea unei autorizații de punere pe piață la nivelul întregii UE. Odată ce o autorizație de punere pe piață a fost acordată, deciziile cu privire la preț și rambursare vor fi luate la nivelul fiecărui stat membru, ținând cont de rolul sau utilizarea potențială a acestui medicament, în contextul sistemului național de sănătate din statul respectiv.