

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 a Medicamentului (European
Medicines Agency - EMA):
Declanșarea procedurii de reevaluare a medicamentului pentru talasemie
Zynteglo

12 Martie 2021
EMA/127031/2021

EMA a declanșat procedura de reevaluare a medicamentului Zynteglo, un medicament pentru terapie genică, indicat pentru tratamentul beta-talasemiei, o afecțiune rară a sângelui.

Reevaluarea a fost declanșată ca urmare a apariției unui caz de leucemie mieloidă acută, un cancer al sângelui, la un pacient tratat cu un medicament de investigație conex, bb1111. Acest medicament utilizează același virus modificat (cunoscut sub numele de vector viral) ca Zynteglo, pentru a introduce o genă în celulele sanguine ale pacientului. Cu toate acestea, medicamentul bb1111 este în curs de dezvoltare pentru a trata cu precădere anemia cu celule în seceră (siclemia), nu talasemia. Pe lângă cazul cu leucemie, alți 2 pacienți cărora li s-a administrat bb1111 au dezvoltat o altă boală a sângelui, sindromul mielodisplazic, care a evoluat către leucemie, în cazul unuia dintre aceștia.

Până în prezent, nu au fost raportate cazuri de leucemie cu medicamentul Zynteglo. Cu toate acestea, posibilitatea ca acest tip de tratament să cauzeze cancer de sânge (oncogeneză inserțională) a fost recunoscută ca risc potențial atunci când medicamentul a fost autorizat, iar pacienții cărora li se administrează medicamentul sunt urmăriți pe termen lung și monitorizați, cu ajutorul unui registru. Având în vedere acest lucru și, deoarece bb1111 funcționează în același mod, compania responsabilă pentru dezvoltarea ambelor medicamente a întrerupt furnizarea Zynteglo, în timp ce datele sunt evaluate, pentru a înțelege dacă apariția cancerului ar putea fi asociată de acest tratament. Niciun alt medicament autorizat nu folosește același vector viral, care se bazează pe un tip de virus numit lentivirus.

Comitetul pentru evaluarea riscurilor în materie de farmacovigilență (Pharmacovigilance Risk Assessment Committee – PRAC) va examina dovezile de la nivel UE, lucrând îndeaproape cu experții din Comitetul pentru terapii avansate (Committee for Advanced Therapies - CAT) al EMA, care este responsabil pentru evaluarea acestui tip de medicament și va decide cu privire la orice acțiune de reglementare relevantă pentru Zynteglo.

În prezent, Zynteglo este disponibil numai în 2 centre din UE și un singur pacient a primit medicamentul în afara studiilor clinice. În cazul în care pacienții tratați cu Zynteglo sau bb1111 au nelămuriri, trebuie să se adreseze medicului care le supraveghează tratamentul.

Mai multe informații despre medicament

Din cauza unei gene modificate, pacienții cu beta-talasemie nu pot produce suficientă beta-globină, o componentă a hemoglobinei, proteina din celulele roșii din sânge care transportă oxigenul prin organism. Drept urmare, acești pacienți au un număr scăzut de celule roșii în sânge și necesită administrarea de transfuzii frecvente de sânge. Zynteglo este produs din celule stem prelevate din sângele pacientului și dintr-un virus modificat, în scopul introducerii în celule de copii funcționale ale genei beta-globinei. Când celulele modificate în acest fel sunt administrate din nou pacientului, acestea sunt transportate prin sânge până la măduva osoasă, unde încep să dezvolte celule roșii, care au capacitatea de a produce beta-globină. Este de așteptat ca efectele acestui tratament să dureze pe întreaga durată a vieții pacientului.

Medicamentul Zynteglo a primit autorizație condiționată de punere pe piață în mai 2019. Aceasta înseamnă că urmează să fie furnizate mai multe informații doveditoare despre medicament, pe care compania trebuie să le transmită. EMA evaluează periodic orice informație nouă pentru a actualiza informațiile despre medicament și condițiile acestuia de utilizare.

Mai multe informații despre procedură

Evaluarea Zynteglo a fost inițiată pe 18 Februarie 2021, la cererea Comisiei Europene, în conformitate cu [Articolul 20 din Regulamentul \(CE\) Nr. 726/2004](#).

Evaluarea este efectuată de către Comitetul pentru evaluarea riscurilor în materie de farmacovigilență (Pharmacovigilance Risk Assessment Committee - PRAC), comitet responsabil pentru evaluarea problemelor de siguranță a medicamentelor de uz uman, care va face o serie de recomandări, care vor fi transmise Comitetului pentru terapii avansate. Recomandările vor fi ulterior transmise Comitetului pentru medicamente de uz uman al EMA (Committee for Medicinal Products for Human Use – CHMP), responsabil de problemele privind medicamentele de uz uman, care va adopta opinia Agenției. Opinia CHMP va fi apoi transmisă Comisiei Europene, care va emite o decizie finală cu aplicabilitate juridică obligatorie în toate statele membre ale UE, la timpul convenit.