

COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția 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) referitor la suspendarea punerii pe piață a medicamentului pentru talasemie Zynteglo, din motive de precauție

17 Februarie 2021

EMA/98916/2021

Suspendarea punerii pe piață a medicamentului pentru talasemie Zynteglo, din motive de precauție

Compania care comercializează medicamentul pentru terapie genică Zynteglo, indicat pentru tratamentul beta-talasemiei (o boală rară a sângelui) a suspendat comercializarea, în așteptarea investigației privind probleme de siguranță.

Compania bluebird bio a notificat EMA că un medicament pe care îl dezvoltă, pe baza aceleiași tehnologii utilizate pentru Zynteglo, ar putea fi asociat cu un caz de cancer. Deși nu au fost raportate cazuri de cancer asociate cu administrarea medicamentului Zynteglo însuși, compania a suspendat comercializarea acestuia, până când se va investiga posibilitatea ca același risc să se aplice în cazul medicamentului autorizat.

Îngrijorarea a apărut în legătură cu medicamentul bb1111, dezvoltat cu intenția de a fi indicat în tratamentul altei afecțiuni a sângelui, și anume anemia cu celule în seceră (siclemie). Acest medicament utilizează același vector viral ca Zynteglo, care se bazează pe un tip de virus cunoscut sub numele de lentivirus, pentru a introduce o genă funcțională în celulele sanguine ale pacientului. Un pacient tratat cu bb1111 a dezvoltat leucemie mieloidă acută, un cancer al sângelui care ar putea avea legătură cu tratamentul respectiv și, de asemenea, a mai fost raportată o altă boală a sângelui, sindrom mielodisplazic, la un alt pacient.

Cancerul cauzat de acest tip de tratament (oncogeneză inserțională) a fost deja identificat ca un risc potențial în cazul utilizării Zynteglo, astfel încât pacienții cărora li se administrează medicamentul sunt urmăriți și monitorizați, cu ajutorul unui registru. Până în prezent nu s-au raportat cazuri de cancer în cazul utilizării tratamentului cu Zynteglo. Cu toate acestea, deoarece bb1111 funcționează în același mod, s-a considerat prudentă suspendarea studiilor clinice

cu bb1111 și întreruperea comercializării Zynteglo, pe parcursul analizei mai amănunțite a dovezilor.

EMA va colabora în strânsă legătură cu compania și cu experții din cadrul rețelei de reglementare, va examina dovezile la nivelul UE și va decide cu privire la orice acțiune de reglementare relevantă pentru Zynteglo sau orice alt medicament similar în curs de evaluare. Niciun alt medicament autorizat nu folosește același vector viral, astfel încât nu sunt prevăzute implicații directe pentru alte medicamente autorizate.

Zynteglo a primit o autorizație condiționată de punere pe piață pe 29 mai 2019. În prezent se comercializează doar în Germania și, din cauza disponibilității limitate și a rarității bolii pentru care este indicat ca tratament, doar un număr foarte mic de pacienți au utilizat sau ar fi fost eligibili pentru a administra tratamentul. Cu toate acestea, dacă există nelămuriri, pacienții tratați sunt sfătuiți să se adreseze medicului specialist care le supraveghează tratamentul cu Zynteglo.

EMA va comunica mai detaliat odată ce vor fi disponibile informații suplimentare.

Mai multe informații despre medicament

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 a copiilor 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 sănătoase, care produc beta-globină. Se așteaptă ca efectele acestui tratament să dureze pe întreaga durată a vieții pacientului.

Zynteglo a primit o autorizație condiționată de punere pe piață, aceasta însemnând că urmează să fie furnizate mai multe dovezi despre medicament, pe care compania trebuie să le ofere. EMA examinează periodic orice informație nouă pentru a actualiza informațiile despre medicament și condițiile de utilizare.