



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 Φεβρουαρίου 2021
EMA/98916/2021

Προληπτική διακοπή κυκλοφορίας του φαρμάκου για τη θαλασσαιμία Zynteglo

Η εταιρεία, που εμπορεύεται το φάρμακο γονιδιακής θεραπείας Zynteglo για τη θεραπεία της σπάνιας πάθησης του αίματος βήτα θαλασσαιμίας, έχει διακόψει τις πωλήσεις καθώς αναμένεται διερεύνηση ενός ζητήματος ασφάλειας.

Η εταιρεία, bluebird bio, ενημέρωσε τον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων (EMA) για ένα σχετικό υπό ανάπτυξη φάρμακο, το οποίο χρησιμοποιεί την ίδια τεχνολογία όπως το Zynteglo και το οποίο ενδέχεται να σχετίζεται με ένα περιστατικό καρκίνου. Παρόλο που δεν έχουν γίνει αναφορές καρκίνου για το ίδιο το Zynteglo, η εταιρεία διακόπτει την κυκλοφορία του Zynteglo μέχρι να διερευνηθεί η πιθανότητα ύπαρξης του ίδιου κινδύνου στο φάρμακο που έχει αδειοδοτηθεί.

Η ανησυχία προέκυψε με το φάρμακο bb1111, το οποίο προοριζόταν για τη θεραπεία μίας άλλης πάθησης του αίματος, της δρεπανοκυτταρικής νόσου. Το φάρμακο αυτό χρησιμοποιεί τον ίδιο ιϊκό φορέα όπως το Zynteglo, βασισμένο σε έναν τύπο ιού που ονομάζεται lentivirus, για να εισάγει ένα λειτουργικό γονίδιο στα κύτταρα του αίματος του ασθενή. Ένας ασθενής στον οποίο χορηγήθηκε bb1111 ανέπτυξε οξεία μυελογενή λευχαιμία, μία κακοήθεια του αίματος, η οποία μπορεί να σχετίζεται με τη θεραπεία και μυελοδυσπλαστικό σύνδρομο, μια διαφορετική αιματολογική διαταραχή, αναφέρθηκε σε έναν άλλο ασθενή.

Ο καρκίνος που προκαλείται από αυτού του είδους τη θεραπεία (ογκογένεση δια εισαγωγής γονιδίου-insertional oncogenesis) είχε ήδη αναγνωριστεί ως δυνητικός κίνδυνος με το Zynteglo, για το λόγο αυτό οι ασθενείς που λαμβάνουν το φάρμακο είναι υπό παρακολούθηση και καταγραφή σε μητρώο. Μέχρι τώρα δεν έχει αναφερθεί κανένα περιστατικό καρκίνου με τη θεραπεία με το Zynteglo. Ωστόσο, καθώς το bb1111 λειτουργεί με τον ίδιο τρόπο, θεωρήθηκε συνετό να σταματήσουν οι κλινικές μελέτες με το bb1111 και να σταματήσουν οι πωλήσεις του Zynteglo καθώς η τεκμηρίωση εξετάζεται πιο διεξοδικά.

Ο EMA συνεργάζεται στενά με την εταιρεία και τους ειδικούς στο ρυθμιστικό δίκτυο και θα εξετάσουν τώρα την τεκμηρίωση σε επίπεδο ΕΕ και θα αποφασίσουν επί οποιασδήποτε σχετικής ρυθμιστικής ενέργειας για το Zynteglo ή άλλα παρόμοια υπό αξιολόγηση φάρμακα. Κανένα άλλο εγκεκριμένο φάρμακο δεν χρησιμοποιεί τον ίδιο ιϊκό φορέα ως εκ τούτου δεν προβλέπεται καμία άμεση παρέμβαση για άλλα εγκεκριμένα προϊόντα.

Στο Zynteglo χορηγήθηκε άδεια κυκλοφορίας υπό όρους στις 29 Μαΐου 2019. Επί του παρόντος, κυκλοφορεί μόνο στη Γερμανία και εξαιτίας της περιορισμένης διαθεσιμότητας και της σπανιότητας της ασθένειας για την οποία προορίζεται η θεραπεία, μόνο ένας πολύ μικρός αριθμός ασθενών το έχουν λάβει ή θα ήταν κατάλληλοι για να το λάβουν. Ωστόσο, εάν ασθενείς υπό θεραπεία έχουν πράγματι

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



κάποιες ανησυχίες θα πρέπει να επικοινωνήσουν με τον ειδικό που επιβλέπει την θεραπεία τους με το Zynteglo.

Ο EMA θα ανακοινώσει επιπλέον πληροφορίες μόλις αυτές θα είναι διαθέσιμες.

Περισσότερα για το φάρμακο

Οι ασθενείς με βήτα-θαλασσαιμία δεν μπορούν να παράγουν αρκετή βήτα-σφαιρίνη, ένα συστατικό της αιμοσφαιρίνης, της πρωτεΐνης των ερυθρών αιμοσφαιρίων που μεταφέρει το οξυγόνο σε ολόκληρο τον οργανισμό. Ως αποτέλεσμα, οι ασθενείς αυτοί έχουν χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων και χρειάζονται συχνές μεταγγίσεις αίματος. Το Zynteglo παράγεται παίρνοντας βλαστοκύτταρα από το αίμα του ασθενούς και χρησιμοποιώντας έναν τροποποιημένο ιό ο οποίος εισάγει λειτουργικά αντίγραφα του γονιδίου της βήτα-σφαιρίνης στα κύτταρα. Όταν αυτά τα διαφοροποιημένα κύτταρα επανεισαχθούν στον ασθενή, μεταφέρονται με την κυκλοφορία του αίματος στον μυελό των οστών όπου ξεκινούν να παράγουν υγιή ερυθρά αιμοσφαίρια τα οποία παράγουν βήτα-σφαιρίνη. Τα αποτελέσματα αυτής της θεραπείας αναμένεται να διαρκέσουν για ολόκληρο το χρόνο ζωής του ασθενούς.

Στο Zynteglo χορηγήθηκε άδεια κυκλοφορίας υπό όρους. Αυτό σημαίνει ότι υπάρχουν περισσότερα στοιχεία σχετικά με την τεκμηρίωση του φαρμάκου, τα οποία οφείλει η εταιρεία να προσκομίσει. Ο EMA επανεξετάζει συχνά οποιαδήποτε νέα πληροφορία έτσι ώστε να επικαιροποιήσει τις πληροφορίες και τους όρους χρήσης του προϊόντος.