



ΚΥΠΡΙΑΚΗ ΔΗΜΟΚΡΑΤΙΑ

ΦΑΡΜΑΚΕΥΤΙΚΕΣ ΥΠΗΡΕΣΙΕΣ  
ΥΠΟΥΡΓΕΙΟ ΥΓΕΙΑΣ

## Προληπτική αναστολή εμπορίας του φαρμάκου για τη θαλασσαιμία Zynteglo

Η εταιρεία που εμπορεύεται το φάρμακο γονιδιακής θεραπείας Zynteglo για τη θεραπεία της σπάνιας κατάστασης αίματος βήτα θαλασσαιμία έχει αναστείλει τις πωλήσεις εν αναμονή της διερεύνησης ενός ζητήματος ασφάλειας.

Η εταιρεία, bluebird bio, ενημέρωσε τον EMA ότι ένα σχετικό φάρμακο που αναπτύσσει, το οποίο χρησιμοποιεί την ίδια τεχνολογία με το Zynteglo, μπορεί να σχετίζεται με μια περίπτωση καρκίνου. Αν και δεν έχουν αναφερθεί κρούσματα καρκίνου με το ίδιο το Zynteglo, η εταιρεία ανέστειλε την εμπορία του Zynteglo έως ότου διερευνηθεί η πιθανότητα να ισχύει ο ίδιος κίνδυνος για το φάρμακο με άδεια χρήσης.

Η ανησυχία προέκυψε με το φάρμακο, bb1111, που προοριζόταν για τη θεραπεία μιας άλλης διαταραχής του αίματος, της δρεπανοκυτταρικής νόσου. Αυτό το φάρμακο χρησιμοποιεί τον ίδιο ιικό φορέα με το Zynteglo, βασισμένο σε έναν τύπο ιού γνωστό ως φακοϊό, για να εισαγάγει ένα λειτουργικό γονίδιο στα κύτταρα του αίματος του ασθενούς. Ένας ασθενής που υποβλήθηκε σε θεραπεία με bb1111 ανέπτυξε οξεία μυελογενή λευχαιμία, έναν καρκίνο του αίματος, που μπορεί να σχετίζεται με τη θεραπεία και μια διαφορετική διαταραχή του αίματος, το μυελοδυσπλαστικό σύνδρομο, αναφέρθηκε σε έναν άλλο ασθενή.

Ο καρκίνος που προκαλείται από αυτόν τον τύπο θεραπείας (παρεμβολή ογκογένεσης) έχει ήδη αναγνωριστεί ως πιθανός κίνδυνος με το Zynteglo, οπότε οι ασθενείς που λαμβάνουν το φάρμακο παρακολουθούνται. Μέχρι στιγμής δεν έχουν αναφερθεί περιπτώσεις καρκίνου με τη θεραπεία με Zynteglo. Παρ' όλα αυτά, δεδομένου ότι το bb1111 λειτουργεί με τον ίδιο τρόπο, θεωρήθηκε συνετό να αναστείλει τις κλινικές μελέτες με το bb1111 και να σταματήσει τις πωλήσεις του Zynteglo ενώ τα στοιχεία εξετάζονται διεξοδικά.

Ο EMA συνεργάζεται στενά με την εταιρεία και τους εμπειρογνώμονες του ρυθμιστικού δικτύου και θα εξετάσει τώρα τα αποδεικτικά στοιχεία σε επίπεδο ΕΕ και θα αποφασίσει σχετικά με οποιαδήποτε σχετική κανονιστική δράση για το Zynteglo ή για παρόμοια φάρμακα υπό αξιολόγηση. Κανένα άλλο εγκεκριμένο φάρμακο δεν χρησιμοποιεί τον ίδιο ιικό φορέα, οπότε δεν προβλέπονται άμεσες επιπτώσεις για άλλα φάρμακα με άδεια.

Το Zynteglo έλαβε άδεια κυκλοφορίας υπό όρους στις 29 Μαΐου 2019. Προς το παρόν διατίθεται στην αγορά μόνο στη Γερμανία και λόγω της περιορισμένης διαθεσιμότητας και της σπανιότητας της πάθησης που προορίζεται να θεραπεύσει, μόνο ένας πολύ μικρός αριθμός ασθενών έλαβε ή θα ήταν επιλέξιμος να λάβετε θεραπεία. Ωστόσο, εάν οι ασθενείς

που υποβάλλονται σε θεραπεία έχουν οποιαδήποτε ανησυχία, θα πρέπει να επικοινωνήσουν με τον ειδικό που επιβλέπει τη θεραπεία τους με το Zynteglo.

Ο EMA θα επικοινωνήσει περαιτέρω μόλις γίνουν διαθέσιμες επιπλέον πληροφορίες.

### **Περισσότερα για το φάρμακο**

Οι ασθενείς με β-θαλασσαιμία δεν μπορούν να παράγουν αρκετή βήτα-σφαιρίνη, ένα συστατικό της αιμοσφαιρίνης, την πρωτεΐνη στα ερυθρά αιμοσφαίρια που μεταφέρει οξυγόνο γύρω από το σώμα. Ως αποτέλεσμα, αυτοί οι ασθενείς έχουν χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων και χρειάζονται συχνές μεταγγίσεις αίματος. Το Zynteglo παρασκευάζεται λαμβάνοντας βλαστικά κύτταρα από το αίμα του ασθενούς και χρησιμοποιώντας έναν τροποποιημένο ιό για να εισαγάγετε αντίγραφα εργασίας του γονιδίου βήτα-σφαιρίνης στα κύτταρα. Όταν αυτά τα αλλοιωμένα κύτταρα επιστρέφονται στον ασθενή, μεταφέρονται στην κυκλοφορία του αίματος στον μυελό των οστών όπου αρχίζουν να δημιουργούν υγιή ερυθρά αιμοσφαίρια που παράγουν βήτα-σφαιρίνη. Τα αποτελέσματα αυτής της θεραπείας αναμένεται να διαρκέσουν για τη διάρκεια ζωής του ασθενούς.

Η Zynteglo έλαβε υπό όρους άδεια κυκλοφορίας. Αυτό σημαίνει ότι υπάρχουν περισσότερα στοιχεία για το φάρμακο, το οποίο απαιτείται από την εταιρεία. Ο EMA εξετάζει τακτικά τυχόν νέες πληροφορίες προκειμένου να ενημερώνει τις πληροφορίες του προϊόντος και τους όρους χρήσης.