

## COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene a Medicamentului (European Medicines Agency = EMA) referitor la recomandarea EMA privind autorizarea pentru punere pe piață în UE a medicamentului Zynteglo, o nouă terapie genică pentru tratarea unei boli rare cu transmitere ereditară

EMA, 1 aprilie 2019

### **Comunicat de presă EMA referitor la recomandarea EMA privind autorizarea pentru punere pe piață în UE a medicamentului Zynteglo, o nouă terapie genică pentru tratarea unei boli rare cu transmitere ereditară**

Agenția Europeană a Medicamentului (EMA) recomandă acordarea autorizației de punere pe piață în Uniunea Europeană pentru un medicament obținut prin inginerie genetică, indicat în tratarea beta-talasemiei, o boală rară de sânge, cu transmitere ereditară, care provoacă anemie severă. Medicamentul Zynteglo este indicat la pacienții adulți și adolescenți cu vârsta de 12 ani și peste, a căror boală necesită transfuzii regulate de sânge pentru a putea fi gestionată și pentru care nu există donatori compatibili în vederea unui transplant de celule stem.

Pacienții care suferă de beta-talasemie nu dispun de capacitatea de a produce suficientă beta-globină, o componentă esențială a hemoglobinei, proteina care transportă oxigenul din sânge dinspre plămâni către restul organismului. În consecință, în organismul acestora există mult mai puține celule roșii decât în mod normal, pacienții suferind astfel de anemie cronică severă.

În numeroase cazuri, pentru a-și trata anemia, astfel de pacienți necesită transfuzii de sânge pe toată durata vieții, însă transfuziile frecvente pot provoca supraîncărcare cu fier, motiv pentru care pacienții trebuie să ia medicamente pentru a elimina fierul în exces. Până în prezent, singura opțiune eficientă de tratament era transplantul de celule stem de la un donator sănătos. Cu toate acestea, în absența unui donator compatibil dintre membrii familiei, pe de o parte, identificarea de donatori adecvați este dificilă, iar, pe de cealaltă parte, transplantul de celule stem de la donatori străini se asociază cu efecte secundare și reacții adverse severe. În acest context, pacienții la care gestionarea beta-talasemiei depinde de transfuzii de sânge prezintă o necesitate medicală neacoperită de noi opțiuni terapeutice.

Medicamentul Zynteglo constituie o nouă opțiune terapeutică pentru pacienții pentru care nu este disponibil un donator familial pentru transplant de celule stem. Cu ajutorul unui vector viral lentiviral, prin acest medicament se introduc copii funcționale ale unei gene  $\beta$ -globină modificate în propriile celulele stem ale pacientului, tratându-se astfel cauza genetică a bolii.

Medicamentul Zynteglo se administrează exclusiv în cadrul unor centre calificate de tratament, de către medici cu experiență în transplantul de celule stem și în tratarea pacienților cu beta-talasemie.

Conform rezultatelor celor două studii principale efectuate pentru demonstrarea efectelor medicamentului Zynteglo, pentru majoritatea pacienților tratați cu acest medicament, la care este absent genotipul  $\beta^0/\beta^0$ , nu mai sunt necesare transfuzii regulate de sânge.

Cele mai frecvente reacții adverse au fost trombocitopenie (număr scăzut de trombocite în sânge), durere abdominală, durere toracică de cauză non-cardiacă, dureri la nivelul extremităților, dispnee și bufeuri.

Dat fiind faptul că medicamentul Zynteglo răspunde unei necesități medicale neacoperite, acesta a beneficiat de sprijinul acordat în cadrul Programului PRIME, platforma EMA pentru dialog timpuriu și intens cu companiile farmaceutice dezvoltatoare de noi medicamente cu beneficiu terapeutic deosebit. Datorită acestei interacțiuni, s-a reușit consolidarea documentației depuse pentru demonstrarea beneficiilor și riscurilor asociate cu acest medicament, permițându-se astfel evaluarea accelerată a acestuia, în numai 150 de zile, cel mai scurt timp de evaluare de până acum pentru un medicament pentru terapie avansată.

Desemnat ca medicament orfan la data de 24 ianuarie 2013, pentru medicamentul Zynteglo s-a acordat în numeroase ocazii asistență în vederea protocolului, formulându-se astfel recomandări privitoare la aspectele de calitate și la programul de studii clinice, inclusiv pentru demonstrarea beneficiului terapeutic semnificativ.

Deoarece medicamentul Zynteglo este un medicament pentru terapie avansată, acesta a fost evaluat în cadrul Comitetului pentru terapii avansate (Committee for Advanced Therapies = CAT), comitet de experți al Agenției Europene a Medicamentului în domeniul medicamentelor obținute pe bază de celule și gene.

Pornind de la evaluarea realizată de CAT și de la opinia pozitivă formulată de acesta, Comitetul EMA pentru medicamente pentru uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) a recomandat autorizarea condiționată a acestui medicament. Autorizarea condiționată este unul dintre mecanismele de reglementare operaționale la nivelul UE, destinat facilitării accesului timpuriu al pacienților la medicamente care răspund unei necesități medicale neacoperite. Acest tip de măsură de reglementare permite Agenției să recomande un medicament spre autorizare pentru punere pe piață pe baza evaluării unui set mai puțin cuprinzător de date decât de obicei, în cazurile în care beneficiul punerii imediate a medicamentului la dispoziția pacienților depășește riscul inherent asociat cu absența pe moment a tuturor elementelor.

Opinia adoptată de CHMP privitoare la medicamentul Zynteglo constituie o etapă intermediară în procesul de punere a acestuia la dispoziția pacientului. În momentul de față, această opinie urmează trimisă către Comisia Europeană în vederea adoptării unei decizii privind acordarea autorizației de punere pe piață

valabile la în întreaga UE. Odată acordată această autorizație, la nivelul fiecărui stat membru se vor lua deciziile privind prețul și rambursarea, pe baza rolului potențial/utilizării medicamentului în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Solicitantul de autorizare pentru medicamentul Zynteglo este compania bluebird bio B.V. (Olanda).

Conform procedurii la momentul aprobării, Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products =COMP) își va re-analiza decizia de desemnare a acestui medicament ca orfan, stabilind astfel dacă informațiile de până acum permit menținerea statutului de orfan al medicamentului Zynteglo și acordarea perioadei de 10 ani de exclusivitate pe piață pentru acest medicament.