



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/249031/2016
EMA/H/C/003854

Resumen del EPAR para el público general

Strimvelis

Fracción celular autóloga enriquecida con células CD34+, que contiene células CD34+ transducidas con un vector retroviral que codifica la secuencia de ADNc de ADA humana

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Strimvelis. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Strimvelis.

Para más información sobre el tratamiento con Strimvelis, el paciente deberá leer el prospecto o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Strimvelis y para qué se utiliza?

Strimvelis es un medicamento que se usa para tratar la inmunodeficiencia combinada grave debida a la deficiencia de adenosina desaminasa (ADA-SCID). ADA-SCID es un trastorno hereditario raro en el que hay un cambio (mutación) en el gen necesario para crear una enzima denominada adenosina desaminasa (ADA). En consecuencia, a los pacientes les falta la enzima ADA. Puesto que ADA es fundamental para mantener unos linfocitos sanos (glóbulos blancos que combaten las infecciones), el sistema inmunitario de los pacientes con ADA-SCID no funciona adecuadamente y sin un tratamiento eficaz rara vez sobreviven más de 2 años.

Strimvelis se usa en pacientes con ADA-SCID que no pueden ser tratados con un trasplante de médula ósea ya que no disponen de un donante adecuado, compatible y emparentado.

Strimvelis contiene células que se obtienen a partir de la propia médula ósea del paciente. Algunas de las células (denominadas células CD34+) se han modificado genéticamente para que incluyan un gen funcional para la enzima ADA. Strimvelis es un tipo de medicamento de terapia avanzada denominado «producto de terapia génica». Este tipo de medicamento actúa introduciendo genes en el organismo.



Dado que el número de pacientes con ADA-SCID es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Strimvelis fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado con enfermedades raras) el 26 de agosto de 2005.

¿Cómo se usa Strimvelis?

Strimvelis solo se puede obtener con receta médica y el tratamiento solo se deberá administrar en un centro especializado en trasplantes, por parte de un médico con experiencia en el tratamiento de ADA-SCID y el uso de este tipo de medicamento.

Para preparar Strimvelis se recogen dos muestras de la médula ósea del paciente, una para elaborar Strimvelis y otra que se conserva como reserva por si Strimvelis no se puede administrar o no funciona. Strimvelis solo se puede utilizar para salvar al mismo paciente cuya médula ósea se ha utilizado para elaborar el medicamento. Strimvelis se administra mediante perfusión en vena (goteo) durante 20 minutos aproximadamente. La dosis depende del peso corporal del paciente.

Antes de administrar Strimvelis, los pacientes reciben tratamiento de acondicionamiento (preparador) con otro medicamento, busulfan, para suprimir las células anormales de su médula ósea. Los pacientes reciben también una inyección de antihistamínico justo antes del tratamiento para reducir el riesgo de reacciones alérgicas.

Para más información, consulte el prospecto.

¿Cómo actúa Strimvelis?

Para elaborar Strimvelis, se recoge una muestra de la médula ósea del paciente. A continuación, las células CD34+ (las células que se pueden convertir en linfocitos) se extraen de entre las células de médula ósea. Se inserta un gen funcional para la enzima ADA en las células CD34+ utilizando un tipo de virus denominado retrovirus, que se ha modificado genéticamente de manera que pueda llevar el gen ADA a las células y no cause una enfermedad vírica en humanos.

Una vez que se vuelve a administrar al paciente por vía intravenosa, Strimvelis se transporta por la circulación sanguínea a la médula ósea donde las células CD34+ comienzan a crecer y a convertirse en linfocitos normales que pueden producir ADA. Estos linfocitos mejoran la capacidad del paciente de combatir la infección, de manera que se superan los síntomas de la enfermedad relacionados con el sistema inmunitario. Se prevé que los efectos duren durante toda la vida del paciente.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Strimvelis en los estudios realizados?

Los beneficios de Strimvelis se han demostrado en un estudio principal en el que participaron 12 pacientes de 6 meses a alrededor de 6 años de edad, con ADA-SCID. Los pacientes del estudio no tenían un donante adecuado de médula ósea y el tratamiento alternativo no había funcionado o no estaba disponible. Todos los pacientes recibieron tratamiento con Strimvelis y permanecían con vida 3 años después del tratamiento. La tasa de infecciones graves se redujo después del tratamiento y siguió disminuyendo con el seguimiento a largo plazo, más allá de 3 años.

¿Cuál es el riesgo asociado a Strimvelis?

El efecto adverso más frecuente con Strimvelis (que puede afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) es la pirexia (fiebre). Los efectos adversos graves con Strimvelis pueden incluir efectos relacionados con la autoinmunidad (cuando el sistema inmunitario ataca a las propias células del organismo) como anemia hemolítica (bajos recuentos de glóbulos rojos debido a su descomposición demasiado rápida), anemia aplásica (bajo recuento de células sanguíneas debido a una médula ósea dañada), hepatitis

(inflamación del hígado), trombocitopenia (bajo recuento de plaquetas) y síndrome de Guillain-Barré (lesión nerviosa que puede producir dolor, entumecimiento, debilidad muscular y dificultad para caminar).

Strimvelis no se debe usar en pacientes que tienen leucemia (cáncer de los glóbulos blancos) o mielodisplasia (un tipo de trastorno de la médula ósea) o que han tenido estas patologías en el pasado. No se debe usar en pacientes que han tenido un resultado positivo en una prueba del virus de la inmunodeficiencia humana (VIH, el virus que provoca el SIDA) o alguna otra infección, o en pacientes que anteriormente han recibido un tratamiento con terapia génica.

Para consultar la lista completa de restricciones y efectos adversos notificados sobre Strimvelis, ver el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Strimvelis?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Strimvelis son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE. Strimvelis ofrece una oportunidad de curación que mejora la actuación del sistema inmunitario en pacientes con ADA-SCID, que es una patología potencialmente mortal. Los resultados del estudio principal demuestran que Strimvelis es eficaz en la mejora de la supervivencia de pacientes con ADA-SCID. En relación con la seguridad, Strimvelis se toleró relativamente bien aunque los datos son limitados debido al escaso número de pacientes estudiados. Puesto que Strimvelis se produce utilizando un retrovirus, podría haber un riesgo potencial de cáncer causado por cambios involuntarios en el material genético, aunque hasta ahora no se han observado casos de este tipo. También existe un riesgo potencial de enfermedad autoinmunitaria. Sin embargo, hay medidas en vigor destinadas a monitorizar estos acontecimientos una vez que el medicamento está en uso, mediante la utilización de un registro de pacientes para estudiar su evolución a largo plazo.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Strimvelis?

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Strimvelis se administra de una forma lo más segura posible. Basándose en este plan, se ha incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Strimvelis la información sobre seguridad que incluye las precauciones pertinentes que deben adoptar los profesionales sanitarios y las pacientes.

Además, la compañía que produce Strimvelis proporcionará materiales de formación para los pacientes y los profesionales sanitarios con información sobre el medicamento y los pacientes deberán firmar un documento de consentimiento antes de que comience el tratamiento. La compañía mantendrá también un registro de pacientes tratados con Strimvelis y monitorizará su evolución con regularidad después del tratamiento para estudiar la seguridad a largo plazo del medicamento.

Otras informaciones sobre Strimvelis

El EPAR completo de Strimvelis puede consultarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mayor información sobre el tratamiento con Strimvelis, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Strimvelis puede consultarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.