



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR santrauka plačiamajam visuomenei

---

### Strimvelis

Autologinėmis CD34+ ląstelėmis praturtinta frakcija, kurioje yra CD34+ ląstelių su transdukuotu retrovirusų vektoriumi, koduojančiu žmogaus ADA cDNR seką

Šis dokumentas yra Strimvelis Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatytų jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Strimvelis.

Praktinės informacijos apie Strimvelis vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

### Kas yra Strimvelis ir kam jis vartojamas?

Strimvelis – tai vaistas, kuriuo gydomas sunkus kombinuotasis imunodeficitas dėl adenozeaminazės trūkumo (angl. *Adenosine Deaminase Severe Combined Immunodeficiency*, ADA-SCID) ADA-SCID yra retas paveldimas sutrikimas, dėl kurio pakinta (mutuoja) genas, reikalingas fermento, vadinamo adenozeaminaze (ADA), gamybai. Dėl to pacientams trūksta fermento ADA. Kadangi ADA yra itin svarbus siekiant išlaikyti limfocitus (baltuosius kraujo kūnelius, kurie apgina organizmą nuo infekcijų) sveikus, ADA-SCID sergančių pacientų imuninė sistema veikia ne taip, kaip turėtų, ir netaikant veiksmingo gydymo, jie retai išgyvena ilgiau kaip 2 metus.

Strimvelis skiriamas tiems ADA-SCID sergantiems pacientams, kurių negalima gydyti persodinant kaulų čiulpus, nes nėra tinkamo, kriterijus atitinkančio, giminingo donoro.

Strimvelis sudėtyje yra ląstelių, išgautų iš paties paciento kaulų čiulpų. Kai kurios iš šių ląstelių (vadinamosios CD34+ ląstelės) genetiškai modifikuojamos, kad jose būtų veikiantis ADA genas. Strimvelis yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis genų terapijos preparatas. Tai yra vaistas, pernešantis genus į organizmą.



Kadangi ADA-SCID sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta ir 2005 m. rugpjūčio 26 d. Strimvelis buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

## **Kaip vartoti Strimvelis?**

Strimvelis galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymo procedūrą galima atlikti tik specializuotame transplantologijos centre ir tik gydytojui, turinčiam ADA-SCID gydymo ir gydymo šiuo vaistu patirties.

Siekiant paruošti Strimvelis, imami du paciento kaulų čiulpų mėginiai: iš vieno ruošiamas Strimvelis, kitas – paliekamas kaip atsarginis mėginys, jeigu nebūtų galima suleisti Strimvelis arba vaistas būtų neveiksmingas. Strimvelis galima gydyti tik tą pacientą, iš kurio kaulų čiulpų šis vaistas buvo pagamintas. Strimvelis vartojamas į veną, atliekant maždaug 20 minučių trukmės infuziją. Vaisto dozė priklauso nuo paciento kūno svorio.

Prieš suleidžiant Strimvelis, pacientams taikomas paruošiamasis gydymas kitu vaistu, busulfanu, kad būtų pašalintos pakitusios kaulų čiulpų ląstelės. Pacientams taip pat prieš pat infuziją suleidžiama antihistamino, siekiant sumažinti alerginių reakcijų pavojų.

Daugiau informacijos pateikta pakuotės lapelyje.

## **Kaip veikia Strimvelis?**

Siekiant paruošti Strimvelis, imamas paciento kaulų čiulpų mėginys. Paskui iš kaulų čiulpų ląstelių išskiriamos CD34+ ląstelės (ląstelės, iš kurių gali išaugti limfocitai). Veikiantis ADA genas įterpiamas į CD34+ ląsteles, naudojant virusą, vadinamą retrovirusu, kuris buvo genetiškai modifikuotas, kad galėtų pernešti ADA geną į ląsteles, bet negalėtų žmonėms sukelti virusinės ligos.

Suleistas į paciento veną, Strimvelis su krauju nukeliauja į kaulų čiulpus, kur CD34+ ląstelės pradeda augti ir išauga į normalius limfocitus, kurie gali gaminti ADA. Šie limfocitai pagerina paciento organizmo gebėjimą kovoti su infekcija ir taip palengvina su imunine sistema susijusius sutrikimo sukeltus simptomus. Tikimasi, kad gydymo poveikis išliks visą paciento gyvenimą.

## **Kokia Strimvelis nauda nustatyta tyrimuose?**

Strimvelis nauda buvo įrodyta atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 12 ADA-SCID sergančių pacientų nuo 6 mėnesių iki maždaug 6 metų. Tyrime dalyvavusiems pacientams nepavyko rasti tinkamo kaulų čiulpų donoro ir kiti vaistai buvo neveiksmingi arba kitų vaistų, kuriais būtų galima gydyti tuos pacientus, nebuvo. Visi pacientai buvo gydomi Strimvelis ir, praėjus 3 metams po gydymo, visi jie vis dar buvo gyvi. Po gydymo sunkių infekcijų dažnis sumažėjo, o, praėjus 3 tolesnio stebėjimo laikotarpio metams, toliau mažėjo.

## **Kokia rizika siejama su Strimvelis vartojimu?**

Dažniausias Strimvelis šalutinis reiškinys (galintis pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra pireksija (karščiavimas). Vartojant Strimvelis, gali pasireikšti tokie rimti šalutiniai reiškiniai, kaip su autoimunitetu (kai paciento imuninė sistema „atakuoja“ jo paties ląsteles) susiję reiškiniai, pvz., hemolizinė anemija (dėl spartaus irimo sumažėjęs raudonųjų kraujo kūnelių skaičius), aplastinė anemija (dėl pažeistų kaulų čiulpų sumažėjęs kraujo kūnelių skaičius), hepatitas (kepenų uždegimas), trombocitopenija (sumažėjęs trombocitų skaičius) Giljeno-Baro (*Guillain-Barré*) sindromas (nervų pažeidimas, kuris gali sukelti skausmą, tirpulį, raumenų silpnumą ir judėjimo sunkumus).

Strimvelis negalima vartoti pacientams, kurie serga leukemija (baltųjų kraujo kūnelių vėžiu) ar mielodisplazija (kaulų čiulpų sutrikimu) arba praeityje sirgo šiomis ligomis. Jo negalima vartoti

pacientams, kurių tyrimų dėl žmogaus imunodeficitu viruso (ŽIV – viruso, kuris sukelia AIDS) arba kai kurių kitų infekcijų rezultatai yra teigiami, ir pacientams, kuriems anksčiau taikyta genų terapija.

Išsamų apribojimų ir šalutinių reiškinių, apie kuriuos pranešta vartojant Strimvelis, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

## **Kodėl Strimvelis buvo patvirtintas?**

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Strimvelis nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES. Strimvelis yra gydymo priemonė, galinti pagerinti grėsmę gyvybei keliančią ligą ADA-SCID sergančių pacientų imuninės sistemos veikimą. Iš pagrindinio tyrimo rezultatų matyti, kad Strimvelis yra veiksmingas siekiant pailginti ADA-SCID sergančių pacientų išgyvenimo trukmę. Kalbant apie Strimvelis saugumą, šis vaistas buvo palyginti gerai toleruojamas, nors dėl nedidelio tyrimo dalyvavusių pacientų skaičiaus šiuo klausimu buvo surinkta nedaug duomenų. Kadangi gaminant Strimvelis, naudojamas retrovirusas, dėl nenumatytų genetinės medžiagos pokyčių, pacientams gali kilti vėžio rizika, nors ligi šiol tokių atvejų nenustatyta. Taip pat gali iškilti pavojus susirgti autoimunine liga. Tačiau šiuo metu įgyvendinamos priemonės, kurios suteikia galimybę stebėti tokius reiškinius pradėjus vartoti vaistą, t. y. vedamas pacientų registras ilgalaikiams pokyčiams tirti.

## **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Strimvelis vartojimą?**

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Strimvelis vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Strimvelis preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Be to, Strimvelis gaminanti bendrovė pacientus aprūpins šviečiamąja medžiaga, o sveikatos priežiūros specialistus – informacija apie vaistą; taip pat, prieš pradėdant gydymą, pacientai turės pasirašyti sutikimo formą. Bendrovė taip pat ves Strimvelis gydomų pacientų registrą ir po gydymo nuolat tikrins, kaip keičiasi pacientų sveikatos būklė, kad galėtų įvertinti ilgalaikį šio vaisto saugumą.

## **Kita informacija apie Strimvelis**

Išsamų Strimvelis EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Daugiau informacijos apie gydymą Strimvelis rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Strimvelis santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).