



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Strimvelis

Fração celular autóloga enriquecida com CD34+ que contém células CD34+ transduzidas com vetor retroviral que codifica a sequência cADN da ADA humana

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Strimvelis. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Strimvelis.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Strimvelis, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Strimvelis e para que é utilizado?

O Strimvelis é um medicamento utilizado no tratamento da imunodeficiência combinada grave por deficiência de adenosina desaminase (ADA-SCID). A ADA-SCID é uma doença hereditária rara em que ocorre uma alteração (mutação) no gene necessário para produzir uma enzima chamada adenosina desaminase (ADA). Como resultado, os doentes têm falta da enzima ADA. Dado que a ADA é fundamental para a manutenção de linfócitos saudáveis (glóbulos brancos que combatem as infeções), o sistema imunitário dos doentes com ADA-SCID não funciona corretamente e, sem tratamento eficaz, raramente sobrevivem mais de 2 anos.

O Strimvelis é utilizado em doentes com ADA-SCID que não possam receber um transplante de medula óssea por não possuírem um dador familiar adequado compatível.



O Strimvelis contém células da medula óssea do próprio doente. Algumas das células (denominadas células CD34+) foram modificadas geneticamente de forma a conterem um gene funcional para a produção de ADA. O Strimvelis é um tipo de medicamento de terapia avançada denominado medicamento de terapia genética. Trata-se de um tipo de medicamento com um mecanismo de ação que consiste em transferir genes para o organismo.

Dado o número de doentes afetados por ADA-SCID ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Strimvelis foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 26 de agosto de 2005.

Como se utiliza o Strimvelis?

O Strimvelis só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser administrado apenas num centro de transplantes especializado, por um médico com experiência no tratamento de ADA-SCID e na utilização deste tipo de medicamento.

Para a preparação do Strimvelis, são colhidas duas amostras da medula óssea do doente: uma para preparar o Strimvelis e outra que é mantida como reserva caso o Strimvelis não possa ser administrado ou não funcione. O Strimvelis só pode ser utilizado para tratar o mesmo doente cuja medula óssea foi utilizada para a preparação do medicamento. O Strimvelis é administrado por perfusão (gota a gota) numa veia, com a duração aproximada de 20 minutos. A dose depende do peso corporal do doente.

Antes da administração do Strimvelis, os doentes recebem tratamento de condicionamento (preparatório) com outro medicamento (bussulfano) para eliminar as células anómalas da sua medula óssea. É também administrada uma injeção de anti-histamínico aos doentes, imediatamente antes do tratamento, para reduzir o risco de reações alérgicas.

Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona o Strimvelis?

Para a preparação do Strimvelis, é colhida uma amostra da medula óssea do doente. Em seguida, as células CD34+ (que podem produzir linfócitos) são extraídas das células da medula óssea. Um gene funcional para a produção de ADA é inserido nas células CD34+ utilizando um tipo de vírus denominado retrovírus, que foi alterado geneticamente de modo a conseguir transportar o gene ADA para as células e não causa doença viral nos seres humanos.

Depois de administrado ao doente numa veia, o Strimvelis é transportado na corrente sanguínea até à medula óssea, onde as células CD34+ começam a crescer e a produzir linfócitos normais que conseguem produzir ADA. Estes linfócitos melhoram a capacidade do doente para combater infeções, superando assim os sintomas da doença relacionados com o sistema imunitário. Os efeitos deverão permanecer durante toda a vida do doente.

Quais os benefícios demonstrados pelo Strimvelis durante os estudos?

Os benefícios do Strimvelis foram demonstrados num estudo principal que incluiu 12 doentes com ADA-SCID, dos 6 meses aos 6 anos de idade. Os doentes no estudo não dispunham de qualquer dador adequado de medula óssea e o tratamento alternativo não tinha funcionado ou não estava disponível. Todos os doentes foram tratados com o Strimvelis e continuavam vivos 3 anos após o tratamento. A taxa de infeções graves diminuiu após o tratamento e continuou a diminuir com um acompanhamento a mais longo prazo (durante mais de 3 anos).

Quais são os riscos associados ao Strimvelis?

O efeito secundário mais frequente associado ao Strimvelis (que pode afetar 1 em cada 10 pessoas) é a pirexia (febre). Os efeitos secundários graves associados ao Strimvelis podem incluir efeitos relacionados com a autoimunidade (quando o sistema imunitário ataca as células do próprio organismo), tais como anemia hemolítica (número baixo de glóbulos vermelhos devido à sua degradação rápida), anemia aplástica (número baixo de células sanguíneas devido a danos na medula óssea), hepatite (inflamação do fígado), trombocitopenia (número baixo de plaquetas) e síndrome de Guillain-Barré (danos nos nervos que podem resultar em dor, dormência, fraqueza muscular e dificuldade em andar).

O Strimvelis é contraindicado em doentes com leucemia (cancro dos glóbulos brancos) ou mielodisplasia (um tipo de doença da medula óssea) ou que tenham tido estas doenças no passado. É também contraindicado em doentes com teste positivo ao vírus da imunodeficiência humana (VIH, o vírus que causa a SIDA) ou a algumas outras infeções, ou em doentes que já tenham sido tratados com terapia genética.

Para a lista completa de restrições de utilização e efeitos secundários comunicados relativamente ao Strimvelis, consulte o Folheto Informativo.

Por que foi aprovado o Strimvelis?

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Strimvelis são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE. O Strimvelis oferece uma oportunidade de cura que melhora o funcionamento do sistema imunitário dos doentes com ADA-SCID, que é uma doença potencialmente fatal. Os resultados do estudo principal demonstram que o Strimvelis é eficaz na melhoria da sobrevivência dos doentes com ADA-SCID. Relativamente à segurança, o Strimvelis foi relativamente bem tolerado, apesar de os dados serem limitados devido ao número reduzido de doentes estudados. Uma vez que o Strimvelis é produzido utilizando um retrovírus, pode haver um potencial risco de cancro causado por alterações inadvertidas do material genético, embora até à data não se tenham verificado quaisquer casos desse tipo. Há também um potencial risco de doença autoimune. Contudo, foram implementadas medidas para monitorizar tais acontecimentos assim que o medicamento comece a ser utilizado, através do recurso a um registo de doentes para estudar a sua evolução a longo prazo.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Strimvelis?

Foi desenvolvido um plano de gestão dos riscos para garantir a utilização segura do Strimvelis. Com base neste plano, foram incluídas informações de segurança no Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo do Strimvelis, incluindo as precauções apropriadas a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes.

Além disso, a empresa que comercializa o Strimvelis irá fornecer materiais educacionais aos doentes e profissionais de saúde com informações acerca do medicamento e os doentes terão de assinar um formulário de consentimento antes do início do tratamento. A empresa irá ainda manter um registo dos doentes tratados com o Strimvelis e monitorizar regularmente a sua evolução após o tratamento, para estudar a segurança a longo prazo do medicamento.

Outras informações sobre o Strimvelis

O EPAR completo relativo ao Strimvelis pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Strimvelis, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Strimvelis pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.