



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Strimvelis

Autolog CD34+ -berikad cellfraktion som innehåller CD34+ -celler transducerade med en retroviral vektor som kodar för den humana ADA cDNA-sekvensen

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Strimvelis. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Strimvelis ska användas.

Praktisk information om hur Strimvelis ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Strimvelis och vad används det för?

Strimvelis är ett läkemedel som används för att behandla svår kombinerad immunbrist orsakad av brist på adenosindeaminas (ADA-SCID). ADA-SCID är en sällsynt ärftlig sjukdom som innebär att det finns en förändring (mutation) i den gen som behövs för att tillverka enzymet adenosindeaminas (ADA). Resultatet blir att patienten får brist på ADA. ADA är mycket viktigt för att lymfocyterna (de vita blodkroppar som bekämpar infektioner) ska vara friska. Immunsystemet hos patienter med ADA-SCID fungerar därför inte som det ska och utan effektiv behandling överlever dessa patienter sällan mer än 2 år.

Strimvelis används till patienter med ADA-SCID som inte kan behandlas med benmärgstransplantation eftersom det inte finns någon lämplig matchande släkting som kan vara donator.

Strimvelis innehåller celler från patientens egen benmärg. En del av cellerna (de så kallade CD34+ cellerna) har genmodifierats så att de innehåller en aktiv gen för ADA. Strimvelis är en typ av läkemedel för avancerad terapi som kallas "genterapiprodukt". Det är en typ av läkemedel som verkar genom att gener förs in i kroppen.



Eftersom antalet patienter med ADA-SCID är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Strimvelis klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 26 augusti 2005.

Hur används Strimvelis?

Strimvelis är receptbelagt och behandlingen ska endast utföras på transplantationsklinik av en läkare med erfarenhet av behandling av ADA-SCID och användning av denna typ av läkemedel.

För att framställa Strimvelis tas två benmärgsprover från patienten, ett för tillverkningen av Strimvelis och ett som reserv om Strimvelis inte kan ges eller inte fungerar. Strimvelis kan endast användas för att behandla den patient vars benmärg använts för tillverkningen av läkemedlet. Strimvelis ges som infusion (dropp) i en ven under cirka 20 minuter. Dosen beror på patientens kroppsvikt.

Innan Strimvelis ger förbehandlas patienten med ett annat läkemedel, busulfan, för att de onormala cellerna i benmärgen ska försvinna. Patienten får dessutom en injektion med antihistamin strax före behandlingen för att minska risken för allergiska reaktioner.

Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Strimvelis?

För att tillverka Strimvelis tas ett prov från patientens benmärg. Därefter extraheras CD43+-celler (celler som kan producera lymfocyter) från benmärgscellerna. En aktiv gen för ADA förs in i CD34+-cellerna med hjälp av en typ av virus som kallas retrovirus. Detta virus har genmodifierats så att det kan bära med sig ADA-genen och föra in den i celler hos människa utan att orsaka någon virussjukdom.

Patienten får sedan tillbaka Strimvelis via en ven och läkemedlet transporteras med blodet till benmärgen. I benmärgen börjar CD34+-cellerna växa och tillverka normala lymfocyter som kan producera ADA. Lymfocyterna ökar patientens förmåga att bekämpa infektioner och patienten kan därmed slippa symtomen på sjukdomen i immunsystemet. Effekterna förväntas kvarstå livet ut.

Vilken nytta med Strimvelis har visats i studierna?

Nyttan med Strimvelis har visats i en huvudstudie där 12 patienter i åldern 6 månader till cirka 6 år med ADA-SCID deltog. Patienterna i studien hade ingen lämplig benmärgsdonator och ingen alternativ behandling hade fungerat eller fanns att tillgå. Alla patienter behandlades med Strimvelis och var fortfarande vid liv 3 år efter behandlingen. Antalet svåra infektioner minskade efter behandlingen och fortsatte sjunka under långtidsuppföljning i över 3 år.

Vilka är riskerna med Strimvelis?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Strimvelis (kan drabba upp till 1 av 10 personer) är pyrexia (feber). Allvarliga biverkningar med Strimvelis kan vara problem kopplade till autoimmunitet (där immunsystemet attackerar kroppens egna celler) såsom hemolytisk anemi (lågt antal röda blodkroppar på grund av alltför snabb nedbrytning), aplastisk anemi (lågt antal blodkroppar på grund av skadad benmärg), hepatit (leverinflammation), trombocytopeni (lågt antal blodplättar) och Guillain-Barrés syndrom (nervskador som kan leda till smärtor, domningar, muskelsvaghet och gångsvårigheter).

Strimvelis får inte användas till patienter med leukemi (cancer som drabbar de vita blodkropparna) eller myelodysplasi (en benmärgssjukdom), eller som har haft dessa sjukdomar tidigare. Det får inte användas till patienter som är hiv-positiva (hiv, dvs. humant immunbristvirus, är det virus som orsakar aids), eller har vissa andra infektioner, eller till patienter som tidigare har behandlats med genterapi.

En fullständig förteckning över restriktioner och biverkningar som rapporterats för Strimvelis finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Strimvelis?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Strimvelis är större än riskerna och rekommenderade att Strimvelis skulle godkännas för försäljning i EU. Strimvelis är ett möjligt botemedel som förbättrar immunsystemets funktion hos patienter med ADA-SCID, som är ett livshotande tillstånd. Resultat från huvudstudien visar att Strimvelis är effektivt när det gäller att förlänga överlevnaden hos patienter med ADA-SCID. När det gäller säkerheten tolererades Strimvelis relativt väl, även om det endast finns begränsade data på grund av det fåtal patienter som studerats. Eftersom Strimvelis produceras med hjälp av ett retrovirus skulle det kunna finnas en risk för cancer orsakad av oavsiktliga förändringar i genmaterialet, även om inga sådana fall hittills har förekommit. Det finns också en möjlig risk för autoimmuna sjukdomar. Åtgärder har dock införts för att övervaka sådana händelser när läkemedlet används, i form av ett patientregister med syfte att studera utvecklingen på lång sikt.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Strimvelis?

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Strimvelis används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Strimvelis. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

Företaget som tillverkar Strimvelis kommer dessutom att förse patienter och sjukvårdspersonal med utbildningsmaterial med information om läkemedlet. Patienterna måste även skriva under ett samtyckesformulär innan behandlingen påbörjas. Företaget kommer också att föra register över alla patienter som behandlas med Strimvelis och övervaka utvecklingen regelbundet efter behandlingen för att undersöka långtidssäkerheten med läkemedlet.

Mer information om Strimvelis

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Strimvelis finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Strimvelis från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.