



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 febbraio 2021  
EMA/98916/2021

## Sospensione precauzionale della commercializzazione del medicinale per la talassemia Zynteglo

L'azienda titolare dell'autorizzazione del medicinale per terapia genica Zynteglo per il trattamento della beta talassemia, malattia rara del sangue, ha sospeso la commercializzazione in attesa di approfondimenti su un problema di sicurezza.

L'azienda, Bluebird Bio, ha notificato all'EMA che un medicinale correlato che utilizza la stessa tecnologia di Zynteglo, attualmente in fase di sviluppo clinico, potrebbe essere associato a un caso di cancro. Sebbene non siano stati segnalati casi di cancro con Zynteglo, l'azienda ne ha sospeso la commercializzazione fino a quando non verrà accertata la possibilità che lo stesso rischio si possa applicare anche a Zynteglo.

Il problema di sicurezza è stato evidenziato con il medicinale, bb1111, destinato a trattare un'altra malattia del sangue, l'anemia falciforme. Questo medicinale utilizza lo stesso vettore virale di Zynteglo, basato su un tipo di virus noto come lentivirus, per inserire un gene funzionante nelle cellule del sangue del paziente. Un paziente trattato con bb1111 ha sviluppato leucemia mieloide acuta, un cancro del sangue, che potrebbe essere correlato al trattamento, e in un diverso paziente è stata segnalata la comparsa di un'altra forma di malattia del sangue, la sindrome mielodisplastica.

Il cancro causato da questo tipo di trattamento (oncogenesi inserzionale) era già stato identificato come un potenziale rischio con Zynteglo, quindi i pazienti che ricevono il medicinale vengono seguiti e monitorati in un registro. Finora, non sono stati segnalati casi di cancro con il trattamento con Zynteglo. Tuttavia, poiché bb1111 funziona allo stesso modo, si è ritenuto prudente sospendere gli studi clinici con bb1111 e sospendere la commercializzazione di Zynteglo mentre le evidenze vengono esaminate più in dettaglio.

L'EMA è in stretto collegamento con l'azienda e con gli esperti del network regolatorio, esaminerà le evidenze disponibili a livello dell'UE e deciderà in merito alle azioni adeguate da intraprendere per Zynteglo o per altri medicinali simili in fase di valutazione. Nessun altro medicinale autorizzato utilizza lo stesso vettore virale, quindi non sono previste implicazioni dirette per altri medicinali autorizzati.

Zynteglo ha ottenuto l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata il 29 maggio 2019. Attualmente è commercializzato solo in Germania e, a causa della disponibilità limitata e della rarità della condizione patologica per la quale è indicato, solo un numero esiguo di pazienti ha ricevuto o è idoneo a ricevere tale trattamento. Tuttavia, se i pazienti trattati hanno dubbi, devono contattare lo specialista che supervisiona il trattamento con Zynteglo.

---

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands  
**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)  
**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



L'EMA emetterà ulteriori comunicazioni non appena saranno disponibili ulteriori informazioni.

### **Maggiori informazioni sul medicinale**

I pazienti con beta talassemia non sono in grado di produrre abbastanza beta globina, un componente dell'emoglobina, la proteina dei globuli rossi che trasporta l'ossigeno nel corpo. Di conseguenza, questi pazienti hanno bassi livelli di globuli rossi e necessitano di frequenti trasfusioni di sangue. Zynteglo viene prodotto prelevando cellule staminali dal sangue del paziente e utilizzando un virus modificato per inserire copie funzionanti del gene della beta-globina in tali cellule. Quando queste cellule modificate vengono re-infuse nel paziente, esse vengono trasportate dal flusso sanguigno al midollo osseo, dove iniziano a produrre globuli rossi sani che producono beta-globina. Gli effetti di questo trattamento dovrebbero durare per tutta la vita del paziente.

Zynteglo ha ottenuto una autorizzazione all'immissione in commercio condizionata. Ciò significa che devono essere fornite ulteriori prove sul medicinale, che l'azienda è tenuta a presentare. L'EMA esamina regolarmente qualsiasi nuova informazione per aggiornare le informazioni di prodotto e le condizioni d'uso.