



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

9 July 2021
EMA/380481/2021

EMA non rileva alcuna prova che colleghi il vettore virale di Zynteglo al cancro del sangue

Il comitato di sicurezza dell'EMA (PRAC) ha concluso che non ci sono prove che Zynteglo causi un cancro del sangue noto come leucemia mieloide acuta (AML).

Zynteglo, una terapia genica per la beta talassemia, una patologia del sangue, utilizza un vettore virale (o virus modificato) per rilasciare un gene funzionante nelle cellule del sangue del paziente.

Il PRAC ha esaminato due casi di AML in pazienti trattati per l'anemia falciforme con un farmaco in sperimentazione, bb1111, in uno studio clinico. Anche se non ci sono state segnalazioni di AML con Zynteglo, entrambi i medicinali usano lo stesso vettore virale e vi era la preoccupazione che il vettore potesse essere implicato nello sviluppo del cancro (oncogenesi inserzionale).

La revisione ha riscontrato che era improbabile che il vettore virale potesse essere la causa. In uno dei pazienti, il vettore virale non era presente nelle cellule tumorali, e nell'altro paziente era presente in un sito (VAMP4) che non sembra essere coinvolto nello sviluppo del cancro.

Dopo aver esaminato tutte le prove, il PRAC ha concluso che le spiegazioni più plausibili per i casi di AML includono il trattamento di condizionamento che i pazienti hanno ricevuto per eliminare le cellule del midollo osseo e il rischio più elevato di cancro del sangue nelle persone con malattia falciforme.

I pazienti in trattamento con Zynteglo per la beta talassemia hanno anche bisogno di un trattamento di condizionamento per eliminare le loro cellule del midollo osseo. Gli operatori sanitari devono quindi informare esplicitamente i pazienti che ricevono Zynteglo dell'aumento del rischio di tumori del sangue a causa dei farmaci utilizzati nei trattamenti di condizionamento.

Il PRAC ha anche aggiornato le sue raccomandazioni per il monitoraggio dei pazienti. Gli operatori sanitari dovranno ora controllare i loro pazienti per i sintomi di tumore del sangue almeno una volta all'anno per 15 anni.¹

Il comitato, che ha lavorato a stretto contatto con esperti del [Comitato per le Terapie Avanzate \(CAT\)](#), ha concluso che i benefici di Zynteglo continuano a superare i suoi rischi. Come per tutti i medicinali, il PRAC monitorerà qualsiasi nuovo dato sulla sua sicurezza e aggiornerà i consigli per i pazienti e gli operatori sanitari quando necessario.

¹ La raccomandazione precedente era che gli operatori sanitari controllassero i segni del cancro una volta all'anno.



Maggiori informazioni sul medicinale

Zynteglo è un trattamento da somministrare una sola volta per una malattia del sangue nota come beta talassemia in pazienti di età pari o superiore a 12 anni che necessitano di frequenti trasfusioni di sangue.

Per produrre Zynteglo, le cellule staminali prelevate dal sangue del paziente vengono modificate utilizzando un virus che inserisce 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 in grado di produrre beta-globina. Gli effetti di questo trattamento dovrebbero durare per tutta la vita del paziente.

Zynteglo ha ottenuto un'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata a maggio 2019. Ciò significa che devono essere fornite ulteriori prove sul medicinale, che l'azienda è tenuta a presentare. L'EMA esamina regolarmente qualsiasi nuova informazione che si renda disponibile.

Maggiori informazioni sulla procedura

La revisione di Zynteglo è stata avviata il 18 febbraio 2021, su richiesta della Commissione Europea, ai sensi dell'[Articolo 20 del Regolamento \(CE\) No 726/2004](#).

La revisione è stata condotta dal Comitato per la valutazione dei rischi per la farmacovigilanza (PRAC), il Comitato responsabile della valutazione delle questioni di sicurezza per i medicinali per uso umano, che ha lavorato in collaborazione con il Comitato per le terapie avanzate. Le raccomandazioni saranno ora inviate al Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP), responsabile per le questioni riguardanti i medicinali per uso umano, che adotterà il parere dell'Agenzia. La fase finale della procedura di revisione è l'adozione da parte della Commissione Europea, di una decisione legalmente vincolante applicabile in tutti gli Stati membri dell'UE.