



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

12 marzo 2021
EMA/127031/2021

Avviata una revisione del medicinale per la talassemia Zynteglo

L'EMA ha avviato una revisione della sicurezza del medicinale Zynteglo, una terapia genica autorizzata per il trattamento della talassemia beta, una rara malattia del sangue.

La revisione fa seguito ad un caso di leucemia mieloide acuta, un cancro del sangue, in un paziente trattato con un farmaco sperimentale correlato, bb1111. Questo medicinale utilizza lo stesso virus modificato (noto come vettore virale) di Zynteglo, per veicolare un gene nelle cellule del corpo. Tuttavia, bb1111 è in fase di sviluppo per il trattamento dell'anemia falciforme, piuttosto che della talassemia. Oltre al caso di leucemia, altri 2 pazienti trattati con bb1111 hanno sviluppato un'altra malattia del sangue, la sindrome mielodisplastica, che in uno di essi è progredita in leucemia.

Finora non sono stati segnalati casi di leucemia con Zynteglo. Tuttavia, la possibilità che questo tipo di trattamento fosse in grado di causare un cancro del sangue (oncogenesi inserzionale) era stata riconosciuta come un rischio potenziale quando il medicinale è stato autorizzato, e i pazienti che lo ricevono sono seguiti a lungo termine e monitorati in un registro. Alla luce di questo, e poiché bb1111 funziona allo stesso modo, l'Azienda responsabile dello sviluppo di entrambi i medicinali ha sospeso la fornitura di Zynteglo, mentre vengono esaminate le evidenze per capire se il cancro possa essere correlato al trattamento. Nessun altro medicinale autorizzato utilizza lo stesso vettore virale, che si basa su un tipo di virus chiamato lentivirus.

Il comitato per la sicurezza dell'EMA, il PRAC, esaminerà ora in dettaglio le evidenze a livello dell'UE, lavorando a stretto contatto con gli esperti del Comitato per le terapie avanzate (CAT) dell'EMA, che è responsabile della valutazione di questa tipologia di medicinale, e deciderà sulle opportune azioni regolatorie pertinenti per Zynteglo.

Zynteglo è attualmente disponibile solo presso 2 centri nell'UE e solo un paziente ha ricevuto il medicinale al di fuori del contesto degli studi clinici. Se i pazienti trattati con Zynteglo o bb1111 hanno dubbi, devono contattare il medico che supervisiona il loro trattamento.

Maggiori informazioni sul medicinale

A causa di un gene alterato, 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 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 per aggiornare le informazioni di prodotto e le condizioni d'uso.

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 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 formulerà una serie di raccomandazioni da condividere con il Comitato per le terapie avanzate. Le raccomandazioni verranno quindi 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. L'opinione del CHMP sarà quindi trasmessa alla Commissione Europea, che emetterà nei tempi dovuti una decisione finale legalmente vincolante applicabile in tutti gli Stati membri dell'UE.