

Nouă terapie cu celule stem pentru tratarea pacienților cu cancere de sânge

20 iunie 2025

Zemcelpro oferă o opțiune pentru pacienții cu cancer de sânge care necesită un transplant de celule stem din sânge și nu au un donator adecvat

<https://www.ema.europa.eu/en/news/new-stem-cell-therapy-treat-patients-blood-cancers>

EMA a recomandat acordarea unei autorizații condiționate de punere pe piață în Uniunea Europeană (UE) pentru **Zemcelpro (dorocubicel / celule neexpandate din cordonul ombilical) pentru tratarea adulților cu tumori maligne hematologice** (cancere ale celulelor sanguine). Zemcelpro poate fi utilizat la pacienții care necesită un transplant alogen de celule stem hematopoietice (alo-HSCT, transplant de celule stem de la un donator) după condiționare mieloablative (chimioterapie și/sau radioterapie) pentru care nu sunt disponibile alte tipuri de celule donatoare adecvate.

Tumorile maligne hematologice sunt tipuri de cancer ale celulelor sanguine clasificate în funcție de locul în care sunt detectate pentru prima dată și includ leucemii (sânge), limfoame (ganglioni limfatici), sindrom mielodisplazic și mieloame (măduvă osoasă). Acestea sunt frecvent diagnosticate ca tipuri de cancer, iar singura opțiune de tratament curativ potențial pentru mai multe dintre aceste tipuri de cancer este alo-HSCT. Acest tip de transplant implică utilizarea celulelor stem donate pentru a înlocui celulele măduvei osoase ale receptorului, cu scopul de a forma măduvă osoasă nouă care produce celule sanguine sănătoase.

Celulele stem utilizate pentru transplant provin, de preferință, de la un donator compatibil, inclusiv un frate sau o soră compatibilă sau un donator compatibil neînrudit. Celulele din sângele cordonului ombilical pot fi utilizate la pacienții care nu au acces la niciun tip de donator adecvat. Cu toate acestea, numărul de celule stem din sângele cordonului ombilical este adesea scăzut și poate întârzia grefarea, stabilirea cu succes și proliferarea celulelor stem ale donatorului în măduva osoasă a receptorului.

Zemcelpro este o terapie celulară care conține celule stem din sângele cordonului ombilical al unui donator, dintre care unele au fost cultivate și multiplicare (**dorocubicel**). Prin creșterea numărului de celule, Zemcelpro face ca celulele stem dintr-o unitate mică de sânge din cordonul ombilical să fie mai eficiente.

Zemcelpro a fost susținut prin schema PRIority MEDicines (PRIME) a EMA, care oferă suport științific și de reglementare timpuriu și îmbunătățit pentru medicamentele care au un potențial deosebit de a răspunde nevoilor medicale neacoperite ale pacienților.

Recomandarea se bazează în mare parte pe o analiză comună a două studii deschise, cu un singur braț, care au inclus 25 de pacienți. În total, 21/25 (84%) pacienți au obținut grefarea neutrofilelor (atunci când celulele stem ale donatorului se stabilesc cu succes în măduva osoasă a receptorului și produc neutrofile, un tip de leucocite) într-un timp median de 20 de zile, iar 17 (68%) pacienți au obținut grefarea plachetară într-un timp median de 40 de zile.

Cele mai frecvente reacții adverse observate la un grup mai larg de 116 pacienți tratați cu **Zemcelpro** includ niveluri scăzute ale diferitelor tipuri de celule sanguine și ale anticorpilor care ajută la combaterea infecțiilor, hipertensiune arterială, infecții și sindromul de grefare, o afecțiune inflamatorie care poate apărea după HSCT. Boala acută grefă-contra-gază (GvHD), când celulele donator/transplantate atacă organismul la scurt timp după un transplant) până la 100 de zile după transplant, a fost raportată la 60% dintre pacienți, iar GvHD cronică care apare până la un an după transplant a fost raportată la 13% dintre pacienți. Strategiile de monitorizare și atenuare a acestor reacții adverse sunt descrise în *informațiile despre produs* și în *planul de gestionare a riscurilor*.

În evaluarea generală a datelor disponibile, Comitetul pentru Terapii Avansate (CAT), comitetul de experți al EMA pentru medicamente pe bază de celule și gene, a constatat că beneficiile **Zemcelpro** au depășit riscurile posibile la pacienții cu afecțiuni maligne hematologice care necesită alo-HSCT pentru care nu sunt disponibile celule donatoare compatibile. CHMP, Comitetul pentru medicamente de uz uman al EMA, a fost de acord cu evaluarea și avizul pozitiv al CAT și a recomandat aprobarea acestui medicament.

Zemcelpro este recomandat pentru o autorizație condiționată de punere pe piață, unul dintre mecanismele de reglementare ale UE pentru facilitarea accesului timpuriu la medicamente care satisfac o nevoie medicală neacoperită. Acest tip de aprobare permite Agenției să recomande un medicament pentru autorizație de punere pe piață cu date mai puțin complete decât se așteaptă în mod normal, dacă beneficiul disponibilității imediate a unui medicament pentru pacienți depășește riscul inherent faptului că nu toate datele sunt încă disponibile.

Pentru a confirma siguranța și eficacitatea **Zemcelpro**, compania a fost solicitată să prezinte rezultatele urmăririi pe termen lung ale studiilor cu un singur braț, să efectueze un studiu controlat randomizat și un studiu bazat pe un registru de pacienți.

Avizul adoptat de CHMP este un pas intermediar pe calea **Zemcelpro** către accesul pacienților. Avizul va fi acum trimis Comisiei Europene pentru adoptarea unei decizii privind o autorizație de punere pe piață la nivelul UE. Odată ce a fost acordată o autorizație de comercializare, deciziile privind prețul și rambursarea vor avea loc la nivelul fiecărui stat membru, ținând cont de rolul sau utilizarea potențială a acestui medicament în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Note:

- Solicitantul pentru **Zemcelpro** este **Cordex Biologics International Limited**.
- **Zemcelpro** a fost admis ca fiind eligibil pentru PRIME la 10 decembrie 2020 pentru transplanturi urgente de celule stem hematopoietice alogene.
- **Zemcelpro** a fost desemnat ca medicament *orfan* la 22 aprilie 2020 pentru **tratamentul transplantului de celule stem hematopoietice**. În urma acestei opinii pozitive din partea CHMP, Comitetul pentru medicamente orfane (COMP) va evalua dacă desemnarea ca medicament *orfan* trebuie menținută.