

KARTA INFORMACYJNA

MYELOMA PATIENTS EUROPE

Idekabtagen wikleucel (Abecma[®])



Myeloma
Patients
Europe

Edition: Myeloma Patients Europe (MPE)

Updated: November 2020

Myeloma Patients Europe AISBL

Avenue Louise 143/4

1050 Brussels

Belgium

www.mpeurope.org

info@mpeurope.org

Polska wersja językowa:

hematoonkologia.pl

KARTA INFORMACYJNA

EUROPEJSKIE STOWARZYSZENIE PACJENTÓW CHORYCH NA SZPICZAKA

Europejskie Stowarzyszenie pacjentów chorych na szpiczaka (Myeloma Patients Europe, MPE) opracowało szereg informacji dla pacjentów i organizacji stowarzyszających grupy pacjentów dotyczących dostępnych metod leczenia szpiczaka plazmocytoowego jak również innych ważnych problemów związanych z chorobą.

Materiały informacyjne poruszają najważniejsze zagadnienia związane z leczeniem, żeby pacjent mógł czuć się bezpiecznie i wiedział, jakie pytania zadawać swojemu lekarzowi.

W każdym opisanym leku/metodzie leczenia poruszone są następujące kwestie:

Informacje dostępne są dla następujących leków lub zagadnień:

- | | |
|---|---|
| ■ Czym jest szpiczak plazmocytowy? | ■ Amyloidozą |
| ■ Czym jest dany lek/metoda leczenia? | ■ Belantamab mafodotin |
| ■ Jak on/-a działa? | ■ Bortezomib |
| ■ Jakie są korzyści z tego leczenia? | ■ Karfilzomib |
| ■ Jakie są jego skutki uboczne? | ■ Daratumumab |
| ■ Kto nie powinien być leczony tym lekiem/tą metodą leczenia? | ■ Elotuzumab |
| ■ Jaki jest sposób podawania i dawkowania leku? | ■ Iksazomib |
| | ■ Lenalidomid |
| | ■ Panobinostat |
| | ■ Pomalidomid |
| | ■ Talidomid |
| | ■ Transplantacja komórek krwiotwórczych |

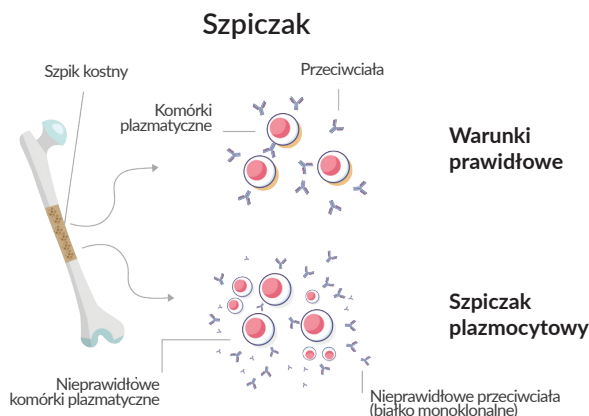
Leczenie szpiczaka plazmocytoowego ciągle się rozwija. Wraz z nowymi danymi lub pojawieniem się nowych leków powyższe informacje będą uaktualniane.

Czym jest szpiczak plazmocytowy?

Szpiczak plazmocytowy jest rzadkim nowotworem szpiku kostnego, wywodzącym się z nieprawidłowych komórek plazmatycznych (zwanych inaczej plazmocytami), które namnażają się w niekontrolowany sposób. W warunkach fizjologicznych komórki plazmatyczne produkują przeciwciała, które biorą udział w rozpoznawaniu i zwalczaniu drobnoustrojów (wirusów, bakterii), czyli są zaangażowane w walkę z infekcjami. Szpiczak plazmocytowy rozwija się głównie w kościach, które w prawidłowych warunkach zawierają szpik kostny (dlatego dawniej nazywany był szpiczakiem mnogim), m.in.: kręgi, kości miednicy, żebra, kości obręczy barkowej i biodrowe.

Szpiczak powoduje bóle kości, ich złamania, niedokrwistość (zwaną również anemią, polegającą na obniżeniu liczby krwinek czerwonych i hemoglobiny), zmęczenie, nawracające infekcje, łatwe siniaczenie się oraz wysokie stężenie wapnia we krwi (hiperkalcemia). Występowanie tych objawów wymaga włączenia leczenia. W przypadku jego skuteczności objawy choroby zanikają i normalizują się wyniki badań. Ten stan nazywa się remisją choroby i nie wymaga leczenia. Po pewnym czasie objawy powracają i ponownie należy włączyć leczenie. Okresy remisji i nawrotów choroby mogą występować kilkakrotnie. Czasem, zwłaszcza w nawrocie choroby, leczenie stosowane jest dotąd, dopóki jest skuteczne. Takie postępowanie ma na celu wydłużyć okres remisji choroby.

Leczenie szpiczaka polega na stosowaniu kombinacji dwóch lub trzech leków, których efekt w skojarzeniu jest większy niż gdyby były stosowane pojedynczo. Szpiczak nie jest chorobą wyleczalną, jednak w ostatnich latach dokonał się ogromny postęp w leczeniu, który umożliwił znaczne wydłużenie przeżycia chorych i poprawę jego jakości. Wiele leków jest już zarejestrowanych do leczenia, szereg innych jest w trakcie badań klinicznych w nawrotowych lub opornych na leczenie postaciach szpiczaka plazmocyтового.



Czym jest idekabtagen wikleucel (Abecma®)?

Idekabtagen wikleucel to terapia własnymi limfocytami T pacjenta (rodzaj krwinek białych), zwana inaczej terapią CAR-T. Lek stosuje się u osób z nawrotową lub oporną chorobą, które wcześniej otrzymały co najmniej trzy linie leczenia, w tym lek immunomodulujący, inhibitor proteasomu i przeciwciała anti-CD38, i u których choroba nasiliła się od czasu ostatniego leczenia¹.

W kwietniu 2017 roku idekabtagen wikleucel otrzymał status leku sierociego, przyznawany substancjom stosowanym w leczeniu chorób rzadkich, czyli takich, na które choruje mniej niż 5 osób na 10 000 mieszkańców Unii Europejskiej. W sierpniu 2021 roku lek został warunkowo dopuszczony do obrotu na terenie całej Unii Europejskiej².

Warunkowe dopuszczenie do obrotu oznacza, że producent leku (BMS/Celgene) zobowiązany jest dostarczyć bardziej obszerne dane na temat bezpieczeństwa i skuteczności leku, na podstawie prowadzonych badań klinicznych (w szczególności na temat długoterminowego profilu bezpieczeństwa)³. Idekabtagen wikleucel jest pierwszą terapią CAR-T dopuszczona do stosowania w szpiczaku plazmocytowym.

Jak działa idekabtagen wikleucel?

Lek idekabtagen wikleucel to rodzaj terapii CAR-T, w której wykorzystuje się własne białe krwinki pacjenta do produkcji leku przeznaczonego tylko dla niego. W organizmie człowieka występują różne rodzaje białych krwinek, między innymi limfocyty B i limfocyty T, które odgrywają istotną rolę w zwalczaniu infekcji lub nowotworów przez układ immunologiczny. W terapii CAR-T wykorzystuje się limfocyty T, które w laboratorium są tak programowane, aby znajdowały i niszczyły komórki szpiczaka.

Własne limfocyty T pacjenta wyposaża się w białko o nazwie chimeryczny receptor antygenowy (CAR), które przyłącza się do występującego na powierzchni komórek nowotworowych białka zwanego antygenem dojrzewania komórek B (BCMA) i niszczy komórki nowotworowe.

Jakie są korzyści ze stosowania idekabtagen wikleucel?

W fazie 2. badania klinicznego KarMMa4 (NCT03361748) analizowano profil bezpieczeństwa i skuteczność leku idekabtagen wikleucel u pacjentów ze szpiczakiem nawrotowym lub opornym, którzy otrzymali wcześniej co najmniej

trzy linie leczenia, i u których nie było odpowiedzi na leczenie lub choroba nadal postępowała.

Spośród 140 pacjentów, którzy wzięli udział w badaniu, 94 odpowiedziało na leczenie i uzyskało remisję trwającą średnio 11 miesięcy. U 42 pacjentów była to remisja całkowita (nie wykryto szpiczaka standardowymi badaniami diagnostycznymi), u 33 pacjentów choroba resztkowa była niewykrywalna (ujemny status MRD, nie wykryto szpiczaka stosując zaawansowane badania diagnostyczne).

Jakie są działania niepożądane idekabtagen wikleucel?

Potencjalne skutki uboczne terapii idekabtagen wikleucel⁴:

- zespół uwalniania cytokin (stan zapalny organizmu, który leczy się sterydami lub lekiem o nazwie tocilizumab, z objawami przypominającymi grypę: gorączka, zmęczenie, mdłości, ból głowy, duszność, podwyższone tętno, zmieniony stan psychiczny, trudności z mówieniem);
- neutropenia (niski poziom neutrofilów, rodzaju białych krwinek);
- anemia (niski poziom czerwonych krwinek);
- trombocytopenia, czyli małopłytkowość (niski poziom płytek krwi, składnika odpowiedzialnego za krzepnięcie krwi).

Rzadko występujące działanie neurotoksyczne (zgłoszone przez 23 pacjentów biorących udział w badaniu KarMMA): splątanie, zmęczenie, ból głowy, pobudzenie, napady drgawkowe.

Jak i kiedy stosuje się idekabtagen wikleucel?

Lek idekabtagen wikleucel tworzy się przez ekstrakowanie z krwi pacjenta limfocytów T (leukaferaza), które w laboratorium są modyfikowane genetycznie, a następnie podawane we wlewie z powrotem pacjentowi. Lek podaje się w postaci pojedynczego wlewu dożylnego (kroplówki), przeprowadzanego w certyfikowanych ośrodkach leczniczych.

Przed wlewem pacjent otrzymuje chemioterapię (zwaną także chemioterapią limfodeplecyjną) w celu usunięcia istniejących białych krwinek, aby organizm zaakceptował komórki CAR-T. Przez co najmniej siedem dni po podaniu leku, pacjentów należy poddawać uważnej obserwacji pod kątem działań niepożądanych i zaleca się, aby pozostawali w bliskiej odległości od szpitala specjalistycznego przez co najmniej 4 tygodnie po leczeniu.

Bibliografia:

1. Pierwsza terapia genowa do leczenia pacjentów ze szpiczakiem | Europejska Agencja Leków, raport z oceny leku https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/abecma-epar-medicine-overview_pl.pdf
2. Abecma - European Medicines Agency. European Medicines Agency. (2021). Retrieved in November 2021. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/abecma>
3. CHMP. Abecma; INN-idecabtagene vicleucel. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/abecma-epar-public-assessment-report_en.pdf
3. NC, M. et al. Idecabtagene Vicleucel in Relapsed and Refractory Multiple Myeloma. The New England Journal of Medicine 384, 705–716 (2021)



© Myeloma Patients Europe (MPE)

MPE is a network of European myeloma patient organisations. It supports national patient organisations to improve treatment and access for patients in their countries and helps inform and raise awareness on a European level through its educational programmes. Please note, this information does not replace the information provided by your doctor. If there is anything that is not clear to you, please always ask your clinical team.



© Myeloma Patients Europe (MPE)

Myeloma Patients Europe



mpeurope



@mpeurope

info@mpeurope.org

www.mpeurope.org