



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/004090

Kymriah (*tisagenlecleucel*)

Información general sobre Kymriah y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Kymriah y para qué se utiliza?

Kymriah es un medicamento que se utiliza para tratar los siguientes tipos de cáncer de la sangre:

- Leucemia linfoblástica aguda (LLA) de células B en niños y adultos jóvenes de hasta 25 años de edad en los que el cáncer no ha respondido al tratamiento previo, ha reaparecido dos o más veces o ha reaparecido después de un trasplante de células madre.
- Linfoma B difuso de célula grande (LBDCG) y linfoma folicular (LF) en adultos en los que el cáncer ha reaparecido o no ha respondido después de dos o más tratamientos previos.

Kymriah es un tipo de medicamento de terapia avanzada denominado «medicamento de terapia génica», es decir, un tipo de medicamento que actúa introduciendo genes en el organismo.

Los cánceres de la sangre en los que se utiliza Kymriah son «raros», y Kymriah ha sido designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) para la LLA de células B el [29 de abril de 2014](#), para el LBDCG el [14 de octubre de 2016](#) y para el LF el [19 de julio de 2021](#).

Kymriah contiene el principio activo tisagenlecleucel (formado por glóbulos blancos modificados genéticamente).

¿Cómo se usa Kymriah?

Kymriah se prepara a partir de los glóbulos blancos del propio paciente, que se extraen de su sangre y se modifican genéticamente en el laboratorio.

Se administra en una única perfusión (goteo) en vena y solo debe administrarse al paciente cuyas células se utilizaron para prepararlo. Antes de que se le administre Kymriah, el paciente deberá recibir un ciclo corto de quimioterapia para eliminar los glóbulos blancos y, justo antes de la perfusión, se le administrará paracetamol y un antihistamínico para reducir el riesgo de reacciones a la perfusión.

Se debe disponer de un fármaco llamado tocilizumab y de un equipo de urgencia en caso de que el paciente experimente un efecto adverso potencialmente grave llamado síndrome de liberación de

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

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



citoquinas, una enfermedad potencialmente mortal que puede provocar fiebre, vómitos, dificultad para respirar, dolor e hipotensión arterial (ver sección de riesgos más adelante).

Hay que vigilar estrechamente a los pacientes durante 10 días después del tratamiento por si aparecen efectos adversos y se les aconseja que permanezcan cerca de un hospital especializado durante al menos 4 semanas después del tratamiento.

Para mayor información sobre el uso de Kymriah, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Kymriah?

Kymriah contiene linfocitos T (un tipo de glóbulo blanco) del propio paciente que han sido modificados genéticamente en el laboratorio para que fabriquen una proteína denominada receptor antigénico quimérico (CAR). La proteína CAR puede unirse a otra proteína presente en la superficie de las células cancerosas llamada CD19.

Cuando Kymriah se administra al paciente, los linfocitos T modificados se unen a las células cancerosas y las destruyen, lo que contribuye a eliminar el cáncer del organismo.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Kymriah en los estudios realizados?

LLA de células B

En el estudio principal de Kymriah en la LLA de células B participaron 92 niños y adultos jóvenes (de 3 a 25 años) en los que el cáncer había reaparecido después del tratamiento previo o no había respondido al tratamiento. Alrededor del 66 % de los pacientes experimentaron una respuesta completa (lo que significa que no presentaron signos de cáncer) en los 3 meses siguientes al tratamiento. Estos resultados fueron mejores que los observados con los medicamentos contra el cáncer clofarabina, blinatumomab o la combinación de clofarabina, ciclofosfamida y etopósido. Doce meses después del tratamiento, la probabilidad de supervivencia fue del 70 %.

LBDCG

En el estudio principal de Kymriah en el LBDCG participaron 165 pacientes que habían recibido al menos 2 tratamientos previos y que no eran aptos para recibir un trasplante de células madre. Alrededor del 24 % de los pacientes presentaron una respuesta completa y el 34 % presentaron al menos una respuesta parcial después de 3 meses como mínimo. Estos resultados fueron equiparables a los obtenidos en estudios de pacientes que recibieron tratamientos antineoplásicos convencionales. Doce meses después del tratamiento, la probabilidad de supervivencia fue del 40%. La mayoría de los pacientes que respondieron a Kymriah siguieron respondiendo después de 19 meses.

LF

En el estudio principal del LF participaron 98 pacientes cuyo cáncer había reaparecido después de un tratamiento previo o no respondía al tratamiento. Los pacientes habían recibido al menos 2 tratamientos previos. Aproximadamente el 69 % de los pacientes presentó una respuesta completa 3 meses después del tratamiento.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Kymriah?

La mayoría de los pacientes presentan efectos adversos graves. Los efectos adversos graves más frecuentes son el síndrome de liberación de citocinas y la disminución de las plaquetas (los

componentes de la sangre que ayudan a que se coagule), la hemoglobina (la proteína presente en los glóbulos rojos que transporta el oxígeno por todo el organismo) o los glóbulos blancos, incluidos los neutrófilos y los linfocitos.

Además, las infecciones graves son efectos adversos muy frecuentes en los pacientes con LBDCG y LF tratados.

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Kymriah se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Kymriah en la UE?

El pronóstico de los pacientes con LLA de células B es malo y las mejorías observadas con Kymriah fueron mejores que las obtenidas con otros medicamentos para esta enfermedad. En los pacientes con LBDCG tratados con Kymriah, los resultados fueron similares a los de otros tratamientos, pero los datos de los estudios en curso indican que los efectos son más duraderos. También se demostró que Kymriah producía una respuesta sólida en pacientes con LF. La mayoría de los pacientes experimentan efectos adversos graves, entre ellos el síndrome de liberación de citocinas. Sin embargo, estos efectos son controlables si se adoptan las medidas adecuadas (ver más adelante). Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Kymriah son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Kymriah?

La compañía que comercializa Kymriah debe asegurarse de que los hospitales en los que se administra Kymriah dispongan de los conocimientos, las instalaciones y la formación pertinentes. Deberá disponerse de tocilizumab por si se produce un síndrome de liberación de citocinas. La compañía debe proporcionar materiales educativos a profesionales sanitarios y pacientes acerca de los posibles efectos adversos, especialmente el síndrome de liberación de citocinas.

La compañía debe realizar varios estudios para obtener más información sobre Kymriah, incluidas la seguridad y eficacia a largo plazo, así como en pacientes menores de 3 años con LLA de células B.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Kymriah se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Kymriah se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados de Kymriah son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Kymriah

Kymriah recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 23 de agosto de 2018.

Puede encontrar información adicional sobre Kymriah en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Fecha de la última actualización de este resumen: 04-2022.