

**Khoa Dược – Tổ TTT – DLS***Tp. HCM, ngày tháng năm 2022***BẢN TIN THÔNG TIN THUỐC****CÁC THUỐC HUYẾT HỌC ĐƯỢC FDA  
PHÊ DUYỆT TRONG NĂM 2021**

Năm 2021 vẫn còn là năm mà dịch bệnh Covid-19 diễn ra phức tạp. Các nước đã tập trung nghiên cứu khoa học về Covid-19 cho tất cả mọi mặt: dịch tễ, phương thức lây truyền, vaccine và thuốc điều trị, hồi sức bệnh Covid-19, hiệu quả-chi phí trong điều trị Covid, chẩn đoán và điều trị hậu Covid... Nhưng bên cạnh đó vẫn có không ít nghiên cứu về các chuyên khoa huyết học, làm nền tảng để FDA phê duyệt thuốc mới, đem lại hiệu quả điều trị và lợi ích cho người bệnh.

**1. BREYANZI**

**Liệu pháp miễn dịch tế bào T thụ thể kháng nguyên chimeric (Chimeric Antigen Receptor T-cell therapy):** là phương pháp điều trị trong đó các tế bào T của bệnh nhân được thay đổi trong phòng thí nghiệm để chúng tấn công các tế bào ung thư. Các tế bào T được lấy ra từ máu người bệnh đó, sau đó gắn kết lên bề mặt tế bào T một thụ thể đặc biệt, được gọi là thụ thể kháng nguyên chimeric (Chimeric Antigen Receptor-CAR), có khả năng liên kết với một protein nhất định trên tế bào ung thư. Khi các tế bào T đã được biến đổi này truyền lại cho người bệnh sẽ gắn kết với kháng nguyên trên tế bào ung thư và tiêu diệt chúng [15].

Vì các bệnh ung thư khác nhau có các kháng nguyên bề mặt khác nhau, mỗi CAR được tạo ra cho một kháng nguyên của bệnh ung thư cụ thể. Ví dụ, trong một số bệnh bạch cầu hoặc u lympho, các tế bào ung thư có một kháng nguyên là CD19, do đó các CAR được tạo ra để gắn kết với CD19 và sẽ không có tác dụng đối với ung thư không có kháng nguyên CD19 [16].

Breyanzi (lisocabtagene maraleucel, Juno Therapeutics, Inc.) là một đại diện cho liệu pháp miễn dịch tế bào T thụ thể kháng nguyên chimeric hướng đến gắn kết CD19. Breyanzi đã được FDA phê duyệt ngày 05/02/2021 với chỉ định điều trị lymphoma tế bào B lớn tái



phát/kháng trị ở người lớn sau  $\geq 2$  line điều trị toàn thân, bao gồm: lymphoma tế bào B lớn lan tỏa chưa được phân loại dưới nhóm (Diffuse Large B-Cell Lymphoma not otherwise specified: DLBCL-NOS), lymphoma tế bào B mức độ cao, lymphoma tế bào B lớn trung thất nguyên phát và lymphoma nang mức độ 3B [1, 2].

## 2. ABECMA

Tương tự như Breyanzi, Abecma (idecabtagene vicleucel, Bristol Myers Squibb) cũng là một liệu pháp miễn dịch tế bào T thụ thể kháng nguyên chimeric hướng đến gắn kết các kháng nguyên trưởng thành tế bào B (B cell maturation antigen –



BCMA). Các BCMA được ưu tiên biểu hiện ở các tế bào lympho B trưởng thành, các nghiên cứu cho thấy sự biểu hiện và hoạt hóa quá mức của chúng có liên quan đến đa u tủy xương. Ngày 26/03/2021, FDA đã phê duyệt Abecma cho điều trị đa u tủy xương tái phát/kháng trị ở người lớn sau  $\geq 4$  line điều trị trước đó, bao gồm tác nhân điều hòa miễn dịch, một chất ức chế proteasome, và một kháng thể đơn dòng kháng CD38 [3, 4].

## 3. UKONIQ

Cùng ngày phê duyệt với Breyanzi (mục 1), ngày 05/02/2021, FDA đã phê duyệt Ukoniq (umbralisib, TG Therapeutics) cho các chỉ định sau:



- Marginal zone lymphoma (MZL) tái phát/kháng trị ở người lớn đã được điều trị ít nhất với 1 phác đồ dựa trên tác nhân kháng CD20.

- Follicular lymphoma (FL) tái phát/kháng trị ở người lớn đã được điều trị với ít nhất 3 line điều trị toàn thân.

Umbralisib là một chất ức chế kinase kép bao gồm PI3K-delta (biểu hiện ở tế bào B bình thường và ác tính) và CK1-epsilon (có liên quan đến bệnh sinh của các tế bào ung thư, bao gồm cả u lympho). Thuốc này được FDA phê duyệt nhanh dựa trên các kết quả về tỷ lệ đáp ứng toàn bộ [5, 6].

#### 4. ZYNLONTA

Zynlonta (loncastuximab tesirine-lpyl) là một thuốc kết hợp kháng thể đơn dòng hướng CD19 và tác nhân alkyl hóa được phê duyệt vào ngày 23/04/2021 cho chỉ định điều trị lymphoma tế bào B lớn tái phát/kháng trị ở người lớn bao gồm: lymphoma tế bào B lớn lan tỏa chưa được phân loại dưới nhóm (Diffuse Large B-Cell Lymphoma not otherwise specified: DLBCL-NOS), DLBCL phát triển từ lymphoma mức độ thấp, lymphoma tế bào B mức độ cao (tiến triển nhanh) [7, 8].



#### 5. REZUROCK



Ngày 16/06/2021, Rezurock (belumosudil, Kadmon Pharmaceuticals), một chất ức chế kinase được phê duyệt cho chỉ định điều trị bệnh mảnh ghép chống ký chủ mạn tính (chronic Graft Versus Host Disease – cGVHD) ở người bệnh  $\geq 12$  tuổi sau khi đã thất bại với ít nhất 2 line điều trị toàn thân trước đó [9, 10].

## 6. TECARTUS

Ngày 01/10/2021, FDA phê duyệt Tecartus (brexucabtagene autoleucel), hãng dược Kite Pharma cho chỉ định:



- Mantle cell lymphoma (MCL) tái phát/kháng trị ở người lớn. Chỉ định này được phê duyệt nhanh dựa trên tỷ lệ đáp ứng toàn bộ và sự kéo dài của đáp ứng.
- Bạch cầu cấp nguyên bào lympho B (B-cell precursor acute lymphoblastic leukemia) tái phát/kháng trị ở người lớn [11, 12].

## 7. SCEMBLIX

Scemblix (asciminib) của hãng dược phẩm Novartis đã được phê duyệt lần đầu vào ngày 29/10/2021 cho bệnh nhân bạch cầu mạn dòng tủy có nhiễm sắc thể Philadelphia (CML Ph+). Asciminib là một thuốc thuộc nhóm ức chế enzyme kinase, được chỉ định trong các trường hợp sau:



- CML Ph+ trong giai đoạn mạn tính mà trước đây đã được điều trị với  $\geq 2$  thuốc ức chế tyrosine kinase (TKIs). Chỉ định này được phê duyệt nhanh dựa trên đáp ứng phân tử chính (Major molecular response – MMR).
- CML Ph+ trong giai đoạn mạn tính có đột biến T315I [13, 14].

Trên đây là tổng hợp sơ bộ các thuốc về chuyên khoa huyết học được FDA phê duyệt vào năm 2021. Những thông tin chi tiết cho từng thuốc về cơ chế tác động, hiệu quả, độ an toàn, tác dụng phụ, ...; liệu pháp miễn dịch tế bào T sẽ được trình bày trong các bản tin sau.

## TÀI LIỆU THAM KHẢO

1. <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/fda-approves-lisocabtagene-maraleucel-relapsed-or-refractory-large-b-cell-lymphoma>
2. <https://www.cancertherapyadvisor.com/home/cancer-topics/lymphoma/breyanzi-lisocabtagene-maraleucel-relapsed-refractory-large-b-cell-lymphoma/>

3. <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/fda-approves-idecabtagene-vicleucel-multiple-myeloma>
4. <https://cen.acs.org/pharmaceuticals/biologics/US-Food-Drug-Administration-approves/99/i12>
5. <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/fda-grants-accelerated-approval-umbralisib-marginal-zone-lymphoma-and-follicular-lymphoma>
6. <https://ukoniq.com/pdf/UKONIQ-Patient-Brochure.pdf>
7. <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/fda-grants-accelerated-approval-loncastuximab-tesirine-lpyl-large-b-cell-lymphoma>
8. <https://www.fiercepharma.com/special-report/2021-s-new-drug-approvals>
9. <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/fda-approves-belumosudil-chronic-graft-versus-host-disease>
10. [https://ce.mayo.edu/sites/default/files/HCP%20Brochure\\_0.pdf](https://ce.mayo.edu/sites/default/files/HCP%20Brochure_0.pdf)
11. <https://www.fda.gov/media/140409/download>
12. <https://www.pharmalive.com/u-s-fda-approves-kites-tecartus/>
13. <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/fda-approves-asciminib-philadelphia-chromosome-positive-chronic-myeloid-leukemia>
14. <https://www.empr.com/drug/scemblix/>
15. <https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/research/car-t-cells>
16. <https://www.cancer.org/treatment/treatments-and-side-effects/treatment-types/immunotherapy/car-t-cell1.html>

**GIÁM ĐỐC**

**P. TRƯỞNG KHOA**

**NGƯỜI BIÊN SOẠN**

**TS.BSCKII. Phù Chí Dũng**

**DS.CKII. Trương Anh Thư**

**Nơi nhận:**

- Ban Giám Đốc
- Khoa LS
- P.KHTH
- Lưu KD