



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

28 февруари 2025 г.
EMA/77307/2025
EMA/H/C/006169

Отказ за издаване на разрешение за употреба на Kizfizo (темозоломид)

Отказът е потвърден след преразглеждане

След като преразгледа първоначалното си становище, Европейската агенция по лекарствата потвърди препоръката за отказ на разрешаването за употреба на лекарствения продукт Kizfizo. Лекарството е предназначено за лечение на деца с невробластом, рак на нервните клетки.

Агенцията издаде своето становище след преразглеждане на 27 февруари 2025 г. Първоначалното становище на Агенцията е издадено на 14 ноември 2024 г. Фирмата, подала заявление за разрешаване на употребата на Kizfizo, е Orphelia Pharma.

Какво представлява Kizfizo и за какво е предназначен да се използва?

Kizfizo е разработен като противораково лекарство за лечение на деца на възраст над 1 година с високорисков невробластом. Предназначен е да се използва в комбинация с друго противораково лекарство — иринотекан или топотекан, при:

- деца, при които невробластомът не се е подобрил при химиотерапия (други лекарства, използвани за лечение на рак);
- деца, при които заболяването се е възобновило и се влошава след като преди това са били подложени на химиотерапия и трансплантация на стволови клетки (процедура, при която се заменят кръвотворните клетки на пациента).

Kizfizo съдържа активното вещество темозоломид (temozolomide) и е разработен като „хибридно“ лекарство. Това означава, че е подобно на „референтно лекарство“, съдържащо същото активно вещество, но между двете има някои разлики.

Референтното лекарство Temodal се предлага под формата на капсули или прах за приготвяне на разтвор за инфузия (вливане) във вена, а Kizfizo е течност за прием през устата или през тръба, преминаваща от носа до стомаха.

Kizfizo е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 21 август 2019 г. за невробластом. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на [уебсайта на Агенцията](#):

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



Как действа Kizfizo?

Активното вещество в Kizfizo, темозоломид (temozolomide), е алкилиращ агент. В организма то се превръща в друго съединение, наречено МТИС. МТИС променя ДНК по начин, който спира деленето на клетките, което води до смъртта им. По този начин се очаква темозоломид да забави растежа на невробластома.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Референтното лекарство Temodal е разрешено за употреба при друг вид рак (глиобластом), но се използва за лечение на невробластом. Фирмата провежда проучване, за да изследва дали Kizfizo е „биоеквивалентен“ на Temodal. Две лекарства са биоеквивалентни, когато имат едни и същи нива на активното вещество в организма и поради това се очаква да имат един и същ ефект.

Фирмата предоставя също резултатите от клинично проучване, обхващащо 102 пациенти на възраст до 21 години с невробластом, на които се прилага темозоломид самостоятелно и в комбинация с иринотекан или топотекан. Основната мярка за ефективност е повлияването от лечението. Фирмата подкрепя тези констатации с резултати от обсервационно проучване, включващо деца с невробластом, лекувани с темозоломид.

Какви са основните причини за отказа за издаване на разрешение за употреба?

Агенцията отбелязва, че както в клиничните, така и в обсервационните проучвания (които не сравняват темозоломид с друго лечение) делът на пациентите, които се повлияват от комбинацията от темозоломид плюс иринотекан или топотекан, е твърде малък, за да се покаже, че е от полза за пациентите. Освен това въз основа на данните от тези проучвания не е било възможно да се определи въздействието на темозоломид.

Поради това становището на Агенцията е, че съотношението между ползите и рисковете от Kizfizo при лечението на деца с невробластом не може да бъде установено.

По искане на фирмата CHMP преразглежда наличните данни и също така потърси съвет от група експерти, които са помолени да отговорят на няколко въпроса относно ползите от лекарството. Тъй като опасенията на комитета не бяха разрешени, първоначалният отказ беше потвърден след преразглеждане.

Какви са последствията от отказа за пациентите, участващи в клинични изпитвания?

Фирмата е уведомила Агенцията, че няма последствия за пациентите, включени в клинични изпитвания с Kizfizo.

Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, говорете с вашия лекар, провеждащ клиничното изпитване.