



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/684022/2021  
EMA/H/C/005467

## Voraxaze (*glucarpidasum*)

Přehled pro přípravek Voraxaze a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Voraxaze a k čemu se používá?

Voraxaze je léčivý přípravek, který se používá ke snížení hladiny methotrexátu (protinádorového léčiva) v krvi u dospělých a dětí starších 28 dnů, jejichž tělo nedokáže methotrexát vyloučit dostatečně rychle nebo u nichž existuje riziko toxicity methotrexátu (stavu, kdy je methotrexát škodlivý pro normální buňky a orgány v těle).

Toxicita methotrexátu je vzácné onemocnění a přípravek Voraxaze byl označen dne 3. února 2003 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-02-128](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-02-128).

Přípravek Voraxaze obsahuje léčivou látku glukarpidázu.

### Jak se přípravek Voraxaze používá?

Výdej přípravku Voraxaze je vázán na lékařský předpis. Měl by se používat pod dohledem zdravotnického pracovníka. Podává se formou jednorázové injekce do žíly do 48 až 60 hodin od zahájení infuze methotrexátu, pokud u pacienta existuje riziko toxicity methotrexátu (na základě hladiny methotrexátu v krvi).

Přípravek Voraxaze se používá v kombinaci s jinými léčivými přípravky k léčbě toxicity methotrexátu je doplněn podpůrnými opatřeními, jako je podávání tekutin.

Více informací o používání přípravku Voraxaze naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

### Jak přípravek Voraxaze působí?

Methotrexát zabraňuje růstu buněk narušováním tvorby DNA. Působí zejména na rychle rostoucí buňky, jako jsou nádorové buňky. Methotrexát však může být škodlivý i pro jiné, normální buňky a orgány v těle. Tento škodlivý účinek se nazývá toxicita methotrexátu. Toxicita methotrexátu je život ohrožující stav.

Glukarpidáza, léčivá látka v přípravku Voraxaze, je bílkovina, která dokáže přeměnit methotrexát v krvi na neškodné látky. Množství methotrexátu v krvi se tak sníží a riziko toxicity zmírní. Vzhledem

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

**Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



k tomu, že glukarpidáza nevstupuje do buněk, nebrání methotrexátu, který již v nádorových buňkách je, v léčbě nádoru.

## **Jaké přínosy přípravku Voraxaze byly prokázány v průběhu studií?**

Ve čtyřech studiích, do kterých byli zařazeni pacienti s rizikem toxicity methotrexátu, bylo zjištěno, že přípravek Voraxaze je účinný z hlediska dosažení klinicky významného snížení hladiny methotrexátu v krvi (tj. na úroveň, kdy methotrexát již není škodlivý). Ve studiích byla u 169 pacientů měřena hladina methotrexátu metodou zvanou vysokoúčinná kapalinová chromatografie (HPLC), a to nejméně jednou po podání první dávky přípravku Voraxaze. Přípravek Voraxaze nebyl porovnáván s jinou léčbou.

Do první studie byli zařazeni pacienti, u nichž existovalo riziko toxicity methotrexátu z důvodu snížené funkce ledvin nebo proto, že jim bylo intratekálně (formou injekce do tekutiny obklopující míchu) podáno příliš velké množství methotrexátu. Při léčbě přípravkem Voraxaze bylo klinicky významného snížení hladiny methotrexátu v krvi dosaženo u 24 z 28 (85,7 %) pacientů.

Do dvou studií byli zařazeni pacienti, kteří nebyli schopni vyloučit z těla methotrexát v důsledku snížené funkce ledvin. V těchto studiích bylo při léčbě přípravkem Voraxaze dosaženo klinicky významného snížení hladiny methotrexátu v krvi u 14 z 27 (51,9 %) pacientů a u 20 z 30 (66,7 %) pacientů.

V poslední studii byl pacientům, kteří nebyli schopni vyloučit z těla methotrexát v důsledku snížené funkce ledvin, podáván přípravek Voraxaze samotný, nebo v kombinaci s thymidinem (jiným léčivem ke snížení hladiny methotrexátu). Klinicky významného snížení hladiny methotrexátu v krvi bylo dosaženo u 46 z 84 (54,8 %) pacientů. Klinicky významného snížení hladiny methotrexátu bylo dosaženo u 50 % pacientů, kterým byl podáván přípravek Voraxaze v kombinaci s thymidinem, a u 59,5 % pacientů léčených samotným přípravkem Voraxaze.

Celkově se ve všech čtyřech studiích průměrná hladina methotrexátu do 15 minut po podání první dávky přípravku Voraxaze snížila o 96,8 až 99,3 %. Hladina methotrexátu navíc zůstala stabilní po dobu 8 až 15 dnů.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Voraxaze?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Voraxaze (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou pocit pálení, bolest hlavy, parestezie (pocit, jako je necitlivost, brnění a mravenčení), zrudnutí a pocit horka.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Voraxaze je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Voraxaze registrován v EU?**

Toxicita methotrexátu je závažné, život ohrožující onemocnění, k němuž dochází, pokud léčivý přípravek není vylučován ledvinami v dostatečné míře a hromadí se v krvi a v celém těle. U pacientů s rizikem toxicity methotrexátu způsobuje přípravek Voraxaze rychlý a výrazný pokles hladiny methotrexátu v krvi, přičemž tato hladina zůstává nízká po dobu až 15 dnů po léčbě. Přestože jsou o bezpečnosti přípravku Voraxaze k dispozici jen omezené údaje, Evropská agentura pro léčivé přípravky dospěla k závěru, že nežádoucí účinky po podání jedné dávky přípravku Voraxaze jsou vzhledem k závažnosti toxicity methotrexátu přijatelné. Agentura proto rozhodla, že přínosy přípravku Voraxaze převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Voraxaze byl registrován za „výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Voraxaze získat úplné informace. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

### **Jaké informace o přípravku Voraxaze nebyly dosud předloženy?**

Jelikož přípravek Voraxaze byl registrován za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Voraxaze dodává na trh, předloží další údaje o bezpečnosti a účinnosti přípravku Voraxaze u pacientů, kteří nejsou schopni vylučovat methotrexát z těla v dostatečné míře.

### **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Voraxaze?**

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Voraxaze, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Voraxaze průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Voraxaze jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

### **Další informace o přípravku Voraxaze**

Další informace o přípravku Voraxaze jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voraxaze](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voraxaze).