



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/450923/2016  
EMA/H/C/000978

## EPAR – sammendrag for offentligheden

---

### Vidaza azacitidin

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Vidaza. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om, hvordan Vidaza skal anvendes.

#### Hvad er Vidaza?

Vidaza er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof azacitidin. Det fås som et pulver med injektionsvæske og gives ved indsprøjtning.

#### Hvad anvendes Vidaza til?

Vidaza anvendes til at behandle voksne med følgende sygdomme, hvis de ikke er egnede til hæmatopoietisk stamcelletransplantation (hvor patienten modtager stamceller med henblik på at gendanne knoglemarvens evne til at producere sunde blodceller):

- myelodysplastiske syndromer (MDS), en gruppe af tilstande, hvor knoglemarven producerer for få blodlegemer. I visse tilfælde kan myelodysplastiske syndromer føre til udviklingen af akut myeloid leukæmi (AML, en cancertype, som påvirker de hvide blodlegemer, der kaldes myeloidceller). Vidaza anvendes hos patienter med intermediær til høj risiko for at udvikle AML eller dø
- - kronisk myelomonocyt leukæmi (CMML, en cancertype, som påvirker de hvide blodlegemer, der kaldes monocytter). Vidaza anvendes, når knoglemarven består af 10-29 % abnorme celler, og knoglemarven ikke producerer et større antal af hvide blodlegemer
- AML, der har udviklet sig fra et myelodysplastisk syndrom, og knoglemarven består af 20-30 % abnorme celler
- AML, når knoglemarven består af mere end 30 % abnorme celler.



Da antallet af patienter med disse sygdomme er lavt, betragtes de som "sjældne", og Vidaza blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 6. februar 2002 mod myelodysplastiske syndromer og den 29. november 2007 mod AML. På tidspunktet for godkendelsen som lægemiddel til sjældne sygdomme var CMML klassificeret som en type myelodysplastisk syndrom.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

## Hvordan anvendes Vidaza?

Behandling med Vidaza bør gives og overvåges af en læge med erfaring i at behandle med lægemidler mod kræft. Patienter bør medicineres mod kvalme og opkastning, før behandling med Vidaza påbegyndes.

Den anbefalede startdosis for Vidaza er 75 mg pr. kvadratmeter legemsflade (beregnet ud fra patientens højde og vægt). Det gives som en injektion under huden på overarmen, låret eller maven dagligt i en uge efterfulgt af en hvileperiode på tre uger. Denne periode på fire uger er én "cyklus". Behandlingen fortsættes i mindst seks cyklusser, og derefter så længe patienten har gavn af den. Lever, nyrer og blod skal undersøges inden hver cyklus. Hvis blodtallene falder for meget, eller hvis patienten udvikler nyreproblemer, bør den næste cyklus udsættes, eller der bør anvendes en mindre dosis.

Fuldstændige oplysninger fremgår af produktresuméet (også en del af denne EPAR).

## Hvordan virker Vidaza?

Det aktive stof i Vidaza, azacitidin, er et middel, som tilhører gruppen "antimetabolitter". Azacitidin er en cytidinanalogue, hvilket betyder, at det optages i cellernes arvemateriale (RNA og DNA). Det menes at virke ved at ændre den måde, cellerne tænder og slukker generne på, samt ved at påvirke produktionen af ny RNA og DNA. Dette menes at løse de problemer med modning og vækst af unge blodceller i knoglemarven, der medfører myelodysplastiske sygdomme, samt at dræbe cancerceller ved leukæmi.

## Hvordan blev Vidaza undersøgt?

Vidaza har været genstand for to hovedundersøgelser. Den første undersøgelse omfattede 358 voksne med intermediære til højrisikobetingede myelodysplastiske syndromer, CMML eller AML, som sandsynligvis ikke ville få foretaget en knoglemarvstransplantation. Patienternes knoglemarv indeholdt op til 30 % abnorme celler. Den anden undersøgelse omfattede 488 AML-patienter, som var mindst 65 år, og som ikke kunne gennemgå en hæmatopoietisk stamcelletransplantation. Deres knoglemarv indeholdt mere end 30 % abnorme celler. I begge undersøgelser blev Vidaza sammenlignet med konventionel behandling (behandlingen blev udvalgt for hver enkelt patient på baggrund af lokal praksis og patientens tilstand). Det primære effektmål var, hvor længe patienterne overlevede.

## Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Vidaza?

Vidaza var mere effektiv end den konventionelle behandling, når det gjaldt livsforlængelse. I den første undersøgelse overlevede de patienter, der fik Vidaza, i gennemsnit i 24,5 måneder sammenlignet med 15,0 måneder for de patienter, der fik konventionel behandling. Effekten af Vidaza var omtrent den samme ved alle tre sygdomme.

I den anden undersøgelse der omfattede AML-patienter med mere end 30 % abnorme celler, overlevede de patienter, der fik Vidaza, i gennemsnit i 10,4 måneder, sammenlignet med 6,5 måneder for de patienter, der fik konventionel behandling.

## Hvilken risiko er der forbundet med Vidaza?

De hyppigste bivirkninger ved Vidaza hos mere end 60 % af patienter med myelodysplastiske syndromer, CMML eller AML (20-30 % abnorme celler), er bivirkninger i blodet, herunder trombocytopeni (lavt antal blodplader), neutropeni (lavt niveau af neutrofiler, en art hvide blodlegemer) og leukopeni (lavt antal hvide blodlegemer), bivirkninger i mave- og tarmregionen, herunder kvalme og opkastning, og reaktioner på injektionsstedet. Lignende bivirkninger forekom hos AML-patienter med mere end 30 % abnorme celler. Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Vidaza fremgår af indlægssedlen.

Vidaza må ikke anvendes hos patienter med fremskreden levercancer eller hos kvinder, som ammer. Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

## Hvorfor blev Vidaza godkendt?

CHMP besluttede, at fordelene ved Vidaza opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af en markedsføringstilladelse for Vidaza.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Vidaza?

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Vidaza.

## Andre oplysninger om Vidaza

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Vidaza den 17. december 2008.

Den fuldstændige EPAR for Vidaza findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Vidaza, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Vidaza findes på agenturets websted: [her](#) (myelodysplastiske syndromer) og [her](#) (AML).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 07-2016.