



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/500878/2014
EMA/H/C/000472

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Busilvex

buszulfán

Ez a dokumentum a Busilvex-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Busilvex alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Busilvex?

A Busilvex koncentrátum, amelyből oldatos (intravénás) infúzió készíthető. A készítmény hatóanyaga a buszulfán.

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Busilvex?

A Busilvex-et felnőtteknél és gyermekeknél „kondicionáló” (előkészítő) kezelés részeként alkalmazzák vérképző őssejt-transzplantáció előtt (ezek olyan sejtek, amelyekből vörsejtek képződnek). Ezt a fajta transzplantációt (átültetést) olyan betegeknél alkalmazzák, akiknél a vérképző sejtek helyettesítésére van szükség, mivel a vérükben valamilyen rendellenesség (például a vérszegénység egy ritka típusa) vagy vérrák alakult ki.

A hagyományos kondicionáló kezelés esetén a Busilvex-et egy másik gyógyszerrel – felnőtteknél ciklofoszfamiddal, gyermekeknél pedig ciklofoszfamiddal vagy melfalánnal – végzett kezelés előtt kell alkalmazni. Felnőtt betegek esetében, akiknél elvégezhető a „csökkentett intenzitású” kondicionáló kezelés, a Busilvex-et közvetlenül egy másik gyógyszerrel, a fludarabinnal végzett kezelés után kell alkalmazni.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Busilvex-et?

A Busilvex-et a transzplantációt megelőző kezelések területén jártas orvos alkalmazhatja.



Ciklofoszfamiddal vagy melfalánnal kombinálva a Busilvex ajánlott adagja felnőtteknél 0,8 mg/testtömeg-kilogramm. Gyermekeknél 17 éves korig a Busilvex ajánlott adagja 0,8–1,2 mg/kg, a gyermek testtömegétől függően. A Busilvex-et centrális intravénás infúzióval adják be (a mellkason található centrális vénába kötött infúzióval). Az egyes infúziókat két órán keresztül kell beadni a betegnek a ciklofoszfamiddal vagy melfalánnal végzett kezelést és a transzplantációt megelőző négy egymást követő napon, hatóránként.

A fludarabinnal kombinálva, a Busilvex ajánlott adagja 3,2 mg/kg napi egyszeri, háromórás infúzióban alkalmazva, közvetlenül fludarabin beadását követően, 2-3 egymást követő napon.

A Busilvex-kezelés megkezdése előtt a betegek görcsoldó és hányás elleni gyógyszereket kapnak.

Hogyan fejt ki hatását a Busilvex?

A Busilvex hatóanyaga, a buszulfán a gyógyszerek alkiláló szereknek nevezett csoportjába tartozik. Ezek az anyagok „citotoxikusak”. Ez azt jelenti, hogy megölik a sejteket, különösen azokat, amelyek gyorsan fejlődnek: ilyenek például a daganatsejtek vagy a progenitor sejtek (azaz őssejtek, amelyek más típusú sejteket hoznak létre). A buszulfánt a transzplantáció előtt a rendellenes sejtek és a beteg már meglévő vérképző őssejtjeinek elpusztítására használják. Ezt az eljárást „mieloablációnak” nevezik. Ezt követően ciklofoszfamidot, melfalánt vagy fludarabint alkalmaznak az immunszuppresszió kiváltásához, vagyis a szervezet természetes védekező képességének csökkentésére. Ez segíti az átültetett sejtek megtapadását (amikor a sejtek elkezdnek szaporodni és normális vörsejteket termelni).

Milyen módszerekkel vizsgálták a Busilvex-et?

A ciklofoszfamiddal vagy melfalánnal kombinált Busilvex-et olyan, elsősorban vérrákban szenvedő betegeknek vizsgálták, akiknek vérképző őssejt-transzplantációra volt szükségük. Két fő klinikai vizsgálatot végeztek, amelyekben 103 felnőtt vett részt, továbbá egy másik vizsgálatot 55 gyermek bevonásával. A hatásosság fő mértéke azon betegek száma volt, akiknél megtörtént a mieloabláció és a megtapadás (az átültetett őssejtek növekedéséig eltelt és a fehérvérsejtek újból nagyobb számban történő termelődésének az ideje).

Mivel a fludarabinnal kombinált Busilvex-et évek óta alkalmazzák a klinikai gyakorlatban, 7 olyan (731 beteg bevonásával végzett) vizsgálat eredményeit mutatták be, amelyek a „csökkentett intenzitású” kondicionáló kezelésként alkalmazott Busilvex és fludarabin hatásosságát vizsgálták.

Milyen előnyei voltak a Busilvex alkalmazásának a vizsgálatok során?

A ciklofoszfamiddal vagy melfalánnal kombinált Busilvex esetében valamennyi felnőttnél és gyermeknél megtörtént a mieloabláció Autotranszplantáció esetén (amikor a betegbe a kezelés előtt levett és tárolt saját sejtjeit ültetik) a megtapadás ideje átlagosan 10 nap volt felnőtteknél, és 11 nap gyermekeknél. Allotranszplantáció esetén (amikor a beteg donortól kap sejteket) felnőtteknél 13 nap, gyermekeknél pedig 21 nap elteltével alakult ki a megtapadás.

A közzétett vizsgálatok adatai azt mutatták, hogy a „csökkentett intenzitású” kondicionáló kezelésként alkalmazott fludarabinnal kombinált Busilvex hatásosnak bizonyult, a betegek 80-100%-ánál alakult ki a teljes megtapadás.

Milyen kockázatokkal jár a Busilvex alkalmazása?

A vörsejtek számának csökkenésén kívül – amely a gyógyszer rendeltetésszerű hatása – a Busilvex legsúlyosabb mellékhatásai a fertőzések, a májrendellenességek, beleértve a májvénák elzáródását, az

átültetett sejtek és a gazdaszervezet összeférhetetlensége (GVHD - graft versus host disease) és a légzőszervi (tüdő-) problémák.

A Busilvex alkalmazása terhes nők esetében tilos! A Busilvex-szel végzett kezelés megkezdésekor a szoptatást abba kell hagyni. A Busilvex mindkét nem esetében hatással lehet a termékenységre. Ezért a női betegeknek a kezelés során és az azt követő legfeljebb hat hónap során kerülniük kell a teherbe esést, a férfi betegeknél pedig a Busilvex-kezelés időtartama alatt, illetve az azt követő legfeljebb hat hónapban ajánlott a gyermeknemzés elkerülése.

A Busilvex alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Busilvex forgalomba hozatalát?

A CHMP arra a következtetésre jutott, hogy a hagyományos kondicionáló kezelésként alkalmazott, ciklofoszfamiddal vagy melfalánnal kombinált Busilvex és a „csökkentett intenzitású” kondicionáló kezelésként alkalmazott fludarabinnal kombinált Busilvex bizonyítottan határos: a Busilvex ezenkívül alternatívát kínál a buszulfán tablettával szemben, amelynek hátránya többek között a beszedendő tabletták magas száma.

A CHMP megállapította, hogy a Busilvex alkalmazásának előnyei ezekben a javallatokban meghaladják a kockázatokat, és javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

A Busilvex-szel kapcsolatos egyéb információ

2003. július 9-én az Európai Bizottság a Busilvex-re vonatkozóan kiadta az EU egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Busilvex-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Busilvex-szel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 09-2014.