



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/612711/2022
EMA/H/C/004275

Crysvita (*burosumabi*)

Tietoa Crysvita-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Crysvita on ja mihin sitä käytetään?

Crysvita on lääke, jota käytetään X-kromosomaalisen hypofosfatemian hoitoon. Se on perinnöllinen sairaus, jolle on ominaista alhainen veren fosfaattipitoisuus (hypofosfatemia). Fosfaatti on välttämätöntä luiden ja hampaiden kasvuun ja niiden pysymiseen vahvoina, joten sen alhainen pitoisuus voi aiheuttaa tautia sairastaville riisitaudin tai muita luuston epämuodostumia ja kasvuongelmia. Crysvitalla voidaan hoitaa aikuisia sekä 1–17-vuotiaita lapsia ja nuoria, kun röntgentutkimuksessa havaitaan merkkejä luustosairaudesta.

Crysvitaa käytetään myös osteomalasian (luiden pehmeneminen ja heikkeneminen) hoitoon, kun sen aiheuttajina ovat fosfaturiset mesenkymaaliset kasvaimet. Tämäntyyppiset kasvaimet tuottavat hormoneja, erityisesti fibroblastikasvutekijä 23:a (FGF23), joka aiheuttaa kehossa fosfaatin häviämistä. Crysvitaa annetaan vähintään 1 vuoden ikäisille potilaille, kun kasvainta ei voida paikantaa tai poistaa leikkauksella.

Crysvitan vaikuttava aine on burosumabi.

Nämä sairaudet ovat harvinaisia, ja Crysvita nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke). Lisää tietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivustolla: ([X-kromosomaalinen hypofosfatemia](#): 15. lokakuuta 2014; [fosfaturinen mesenkymaalinen kasvain](#): 16. huhtikuuta 2018).

Miten Crysvitaa käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon määrää lääkäri, joka on perehtynyt kehon kemiallisten prosessien muutoksista johtuvien luustosairauksien hoitoon.

Crysvitaa annetaan injektiona ihon alle joka toinen tai neljäs viikko potilaan iän mukaan. Suositeltu aloitusannos määräytyy hoidettavan sairauden sekä potilaan iän ja painon mukaan. Annosta mukautetaan potilaan veren fosfaattipitoisuuden mukaan.

Lisätietoa Crysvitan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

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



Miten Crysvida vaikuttaa?

Fosfaattipitoisuuksia säätelevät pääasiassa munuaiset, jotka tarvittaessa joko poistavat ylimääräistä fosfaattia tai palauttavat sen verenkiertoon. X-kromosomaalista hypofosfatemiaa tai kasvaimen aiheuttamaa osteomalasiaa sairastavilla potilailla FGF23-pitoisuus on poikkeavan suuri, mikä saa munaiset lopettamaan fosfaatin palauttamisen verenkiertoon.

Crysvida on monoklonaalinen vasta-aine (proteiinityyppi), joka on kehitetty tunnistamaan FGF23-proteiinin ja kiinnittymään siihen. Kiinnittymällä FGF23-proteiiniin lääke estää proteiinin toiminnan, jolloin munaiset pystyvät palauttamaan fosfaattia verenkiertoon ja siten palauttamaan veren fosfaattipitoisuuden normaalille tasolle.

Mitä hyötyä Crysvidasta on havaittu tutkimuksissa?

X-kromosomaalinen hypofosfatemia

Crysvida vähensi riisitaudin (luuston epämuodostumien) vaikeusastetta röntgenkuvauksella havaittuna X-kromosomaalista hypofosfatemiaa sairastavilla potilailla.

Lääkettä arvioitiin yhdessä päätutkimuksessa, jossa oli mukana 52 iältään 5–12-vuotiasta lasta. Kaikki lapset saivat Crysvidaa joko kahden tai neljän viikon välein. Tehon pääasiallisena mittana oli riisitaudin vaikeusasteen väheneminen ranteissa ja polvissa. Tämä mitattiin asteikolla 0:sta (normaali) 10:een (vaikea). Crysvidaa kahden viikon välein saaneiden lasten keskimääräinen pistemäärä ennen hoitoa oli 1,9 pistettä, ja se pieneni 1,0 pisteellä 64 hoitoviikon jälkeen. Neljän viikon välein lääkettä saaneilla lähtötilanteen pistemäärä 1,7 pistettä pieneni 0,8 pisteellä. Lisäksi veren fosfaattipitoisuus parani ajan kuluessa kummassakin ryhmässä, etenkin Crysvidaa kahden viikon välein saaneilla. Tutkimus, jossa on mukana 13 nuorempaa lasta, on osoittanut, että Crysvida on tehokas 1–4-vuotiailla.

Kolmannessa tutkimuksessa Crysvidaa tutkittiin 134 aikuisella. Potilaille annettiin Crysvidaa tai lumelääkettä joka neljäs viikko 24 viikon ajan. Tehon pääasiallisena mittana oli veren fosfaattipitoisuuden normalisoituminen. Tutkimuksessa havaittiin, että veren fosfaattipitoisuus palautui normaaliksi 94 prosentilla Crysvidaa saaneista potilaista ja 8 prosentilla lumelääkettä saaneista.

Kasvaimesta johtuva osteomalasia

Crysvidan on osoitettu suurentavan veren fosfaattipitoisuutta ja parantavan luuston terveyttä aikuisilla, joilla on kasvaimen aiheuttama osteomalasia ja joilla kasvainta ei voitu paikantaa tai poistaa kirurgisesti.

Ensimmäiseen tutkimukseen osallistui 14 aikuista, jotka sairastivat kasvaimen aiheuttamaa osteomalasiaa. Seitsemällä potilaalla veren fosfaattipitoisuus saatiin normaaliksi noin kuuden kuukauden hoidon jälkeen. Lisäksi luuston terveyden havaittiin parantuneen noin vuoden kestäneen hoidon jälkeen.

Toiseen tutkimukseen osallistui 13 aikuista, joilla oli kasvaimen aiheuttama osteomalasia. Heidän veren fosfaattipitoisuutensa nousi normaalille tasolle ja pysyi vakaana koko tutkimuksen ajan (jopa 2,7 vuotta).

Niiden tietojen perusteella, joita on saatavilla X-kromosomaalista hypofosfatemiaa sairastavista alle 18-vuotiaista potilaista, sekä sen perusteella, että molemmat sairaudet johtuvat suuresta FGF23-pitoisuudesta, Crysvidan odotetaan olevan tehokas myös lapsilla ja nuorilla, jotka sairastavat kasvaimen aiheuttamaa osteomalasiaa.

Mitä riskejä Crysvitaa liittyy?

Lapsilla Crysvitaa yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat pistoskohdan reaktiot (kuten ihon punoitus, kutina, ihottuma, kipu ja mustelmat), yskä, päänsärky, kuume, ylä- ja alaraajojen kipu, oksentelu, hampaan absessi, D-vitamiinitason lasku, ripuli, ihottuma, pahoinvointi, ummetus, karies ja lihaskipu.

Aikuisilla yleisimmät sivuvaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat selkäkipu, injektiokohdan reaktiot, päänsärky, hammastulehdus, levottomat jalat -oireyhtymä, lihaskouristukset, ummetus, D-vitamiinipitoisuuden lasku ja huimaus.

Crysvita-hoidon aikana ei saa käyttää suun kautta annosteltavia fosfaatteja eikä D-vitamiinin aktiivisia muotoja (mm. kalsitrioli) Crysvitaa ei saa myöskään antaa potilaille, joiden veren fosfaattipitoisuus on suuri tai joilla on vaikea munuaissairaus.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Crysvitaa haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Crysvita on hyväksytty EU:ssa?

Crysvitaa osoitettiin vähentävän luuston epämuodostumien vaikeusastetta ranteissa ja polvissa sekä parantavan veren fosfaattipitoisuutta X-kromosomaalista hypofosfatemiaa sairastavilla lapsilla. Lääke paransi myös tehokkaasti veren fosfaattipitoisuutta aikuisilla. Crysvitalla osoitettiin olevan suotuisia vaikutuksia fosfaattipitoisuuteen ja luuston terveyteen kasvaimesta johtuvaa osteomalasiaa sairastavilla potilailla. Lääkkeen haittavaikutusten katsotaan olevan hallittavissa. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Crysvitaa hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten Crysvitaa turvallinen ja tehokas käyttö voidaan varmistaa?

Valmisteyhteenvedo ja pakkausseloste sisältävät suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Crysvitaa käyttö olisi turvallista ja tehokasta.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Crysvitaa käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Crysvitaa valmistuksesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja potilaiden suojelemiseksi suoritetaan kaikki tarvittavat toimet.

Muut Crysvitaa koskevat tiedot

Crysvita sai koko EU:n alueella voimassa olevan ehdollisen myyntiluvan 19. helmikuuta 2018. Ehdollinen lupa muutettiin 21. syyskuuta 2022 normaaliksi myyntiluvaksi.

Lisätietoa Crysvitasta saa viraston verkkosivulta: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/crysvida

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 09-2022.