



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/622089/2020
EMA/H/C/005031

Elzonris (*tagraxofuspum*)

Přehled pro přípravek Elzonris a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Elzonris a k čemu se používá?

Elzonris je léčivý přípravek používaný k léčbě dospělých s nádorem z blastických plazmocytoidních dendritických buněk (BPDCN), typem nádorového onemocnění krve, které může postihnout mnoho orgánů včetně kůže, kostní dřevě (měkké tkáně uvnitř velkých kostí) a mízních uzlin.

BPDCN je vzácné onemocnění a přípravek Elzonris byl označen dne 11. listopadu 2015 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567.

Přípravek Elzonris obsahuje léčivou látku tagraxofusp.

Jak se přípravek Elzonris používá?

Přípravek Elzonris je dostupný ve formě infuze (kapání do žíly) a jeho výdej je vázán na lékařský předpis. Má se podávat pouze pod dohledem lékaře se zkušenostmi s podáváním protinádorových léčivých přípravků v zařízení s resuscitačním vybavením.

Doporučená dávka je 12 mikrogramů na kilogram tělesné hmotnosti jednou denně v infuzi trvající 15 minut. Přípravek Elzonris se podává prvních 5 dnů 21denního cyklu; cykly se opakují, dokud se onemocnění nezhorší nebo dokud se u pacienta neobjeví nepřijatelné nežádoucí účinky.

První cyklus se podává v nemocnici a u pacienta je třeba nejméně 24 hodin po poslední infuzi monitorovat nežádoucí účinky. Další cykly lze podávat v ambulantním zařízení s vybavením pro intenzivní monitorování pacientů, kteří jsou léčeni z důvodu nádorového onemocnění krve.

Zhruba hodinu před každou infuzí mají pacienti dostat antihistaminika, kortikosteroid a paracetamol ke snížení rizika alergických reakcí.

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

Jak přípravek Elzonris působí?

Léčivá látka v přípravku Elzonris, tagraxofusp, se vyrábí z difterického toxinu (látky jedovaté pro buňky), který je spojen s bílkovinou zvanou interleukin 3. Část léčivého přípravku tvořená

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



interleukinem 3 se váže na receptory (cíle), které se nacházejí na mnoha BPDCN buňkách. Když se léčivý přípravek naváže na nádorové buňky, dostane se do jejich nitra, kde se z něj uvolní toxin a buňky usmrtí. Předpokládá se, že se tak předchází šíření nádorového onemocnění a zmírňují se jeho příznaky.

Jaké přínosy přípravku Elzonris byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Elzonris byl zkoumán v jedné studii zahrnující 84 dospělých s BPDCN (65 bez předchozí léčby a 19 již dříve léčených jinými léčivými přípravky).

Studie prokázala, že 57 % (37 z 65) dosud neléčených pacientů nevykazovalo po léčbě přípravkem Elzonris žádné známky onemocnění nebo mělo jen minimální postižení kůže. Kromě toho asi třetina (21 z 65) těchto pacientů mohla podstoupit transplantaci kmenových buněk (postup, při kterém se kostní dřeň pacienta nahradí kmenovými buňkami dárce, jež vytvoří novou kostní dřeň produkující zdravé krevní buňky), což jim pomohlo prodloužit život.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Elzonris?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Elzonris (které mohou postihnout více než 1 osobu z 5) jsou hypoalbuminemie (nízká hladina albuminu v krvi), zvýšené krevní hladiny transamináz (známka poškození jater), trombocytopenie (nízký počet krevních destiček), nauzea (pocit na zvracení), únava a horečka.

Nejzávažnějším nežádoucím účinkem, který se může při léčbě přípravkem Elzonris objevit, je syndrom kapilárního úniku (nepředvídatelný život ohrožující nežádoucí účinek, při kterém začnou prosakovat malé krevní cévy), který může postihnout až 1 osobu z 5.

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

Na základě čeho byl přípravek Elzonris registrován v EU?

I když byla studie malého rozsahu a přípravek Elzonris nebyl porovnáván s jinou léčbou, Evropská agentura pro léčivé přípravky usoudila, že provedení větších studií je u tohoto vzácného onemocnění problematické. Po zvážení dalších rad od odborníků z terénu došla agentura k závěru, že u pacientů s BPDCN, kteří dosud nedostávali jinou léčbu, převyšují přínosy přípravku Elzonris jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU. Údaje však nebyly dostatečné k odvození stejného závěru u pacientů, u nichž nebyla účinná předchozí léčba. Bezpečnost přípravku Elzonris je považována za přijatelnou při dodržování konkrétních opatření pro minimalizaci rizika nejzávažnějších nežádoucích účinků.

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

Jaké informace o přípravku Elzonris nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Elzonris byl registrován za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Elzonris dodává na trh, předloží výsledky studie vycházející z registru pacientů s BPDCN, aby bylo možné dále charakterizovat účinnost a bezpečnost přípravku Elzonris.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Elzonris?

Společnost, která přípravek Elzonris dodává na trh, poskytne edukační materiály pro zdravotníky a „výstražnou kartičku“ pro pacienty s důležitými informacemi o syndromu kapilárního úniku.

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

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Elzonris průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Elzonris jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Elzonris

Další informace o přípravku Elzonris jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 12-2020.