



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Elzonris (*tagraxofusp*)

En oversigt over Elzonris, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Elzonris, og hvad anvendes det til?

Elzonris er et lægemiddel til behandling af voksne med blastisk plasmacytoid dendritisk celleneoplasi (BPDCN), der er en type blodkræft, som kan påvirke mange organer, herunder huden, knoglemarven (det svampede væv inde i de store knogler) og lymfeknuderne.

BPDCN er sjælden, og Elzonris blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 11. november 2015. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567).

Elzonris indeholder det aktive stof tagraxofusp.

### Hvordan anvendes Elzonris?

Elzonris fås til infusion (drop) i en vene og fås kun på recept. Det bør kun gives under overvågning af en læge, der har erfaring i anvendelsen af kræftmedicin, og på et sted, hvor der er genoplivningsudstyr til rådighed.

Den anbefalede dosis er 12 mikrogram/kg legemsvægt én gang dagligt indgivet over 15 minutter. Elzonris gives de første fem dage i en cyklus på 21 dage; cyklusserne gentages, medmindre sygdommen forværres, eller patienterne får uacceptable bivirkninger.

Den første cyklus gives på et hospital, og patienterne bør overvåges for bivirkninger i mindst 24 timer efter den sidste infusion. Efterfølgende cyklusser kan gives på en ambulans klinik, hvor der er udstyr til intensiv overvågning af patienter, der behandles for blodkræft.

Ca. en time før hver infusion bør patienterne gives antihistamin, binyrebarkhormon og paracetamol for at mindske risikoen for overfølsomhedsreaktioner.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Elzonris, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

### Hvordan virker Elzonris?

Det aktive stof i Elzonris, tagraxofusp, består af difteritoksin (et stof, der er giftigt for celler) forbundet med proteinet interleukin 3. Interleukin 3-delen af lægemidlet binder til receptorer (mål), der findes i

---

**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



stort antal på BPDCN-celler. Når lægemidlet er blevet bundet til kræftceller, optager cellerne det, og dermed frigives toksinet inde i dem, hvilket slår dem ihjel. Dette forventes at forebygge spredningen af kræften og reducere symptomerne på sygdommen.

## **Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Elzonris?**

Elzonris blev undersøgt i et studie med 84 voksne med BPDCN (65 tidligere ubehandlede patienter og 19 patienter, der tidligere var blevet behandlet med andre lægemidler).

Studiet viste, at 57 % (37 ud af 65) af de tidligere ubehandlede patienter ikke havde tegn på sygdom eller havde minimal hudskade efter behandling med Elzonris. Derudover var ca. en tredjedel (21 ud af 65) af disse patienter i stand til at få en stamcelletransplantation (en procedure, hvor patientens knoglemarv erstattes af stamceller fra en donor for at blive til ny knoglemarv, der kan danne raske celler), hvilket bidrog til, at patienterne levede længere.

## **Hvilke risici er der forbundet med Elzonris?**

De hyppigste bivirkninger ved Elzonris (der kan forekomme hos mere end 1 ud af 5 personer) er hypoalbuminæmi (lavt niveau af albumin i blodet), forhøjet niveau af aminotransferaser i blodet (tegn på leverproblem), trombocytopeni (lavt antal blodplader), kvalme, træthed og feber.

De alvorligste bivirkninger ved behandling med Elzonris er kapillær-lækagesyndrom, en uforudsigelig, livstruende bivirkning, hvor små blodkar begynder at lække blod. Den kan forekomme hos op til 1 ud af 5 personer.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Elzonris fremgår af indlægssedlen.

## **Hvorfor er Elzonris godkendt i EU?**

Selvom studiet var lille, og Elzonris ikke blev sammenholdt med andre behandlinger, vurderer Det Europæiske Lægemiddelagentur, at det vil være vanskeligt at gennemføre større studier af denne sjældne sygdom. Efter at have indhentet yderligere rådgivning fra eksperter på området konkluderede agenturet, at fordelene ved Elzonris opvejer risiciene hos patienter med BPDCN, som endnu ikke har fået andre behandlinger, og at lægemidlet kan godkendes til brug i EU. Dataene var imidlertid ikke tilstrækkelige til at drage samme konklusion for patienter, der ikke havde haft gavn af tidligere behandling. Sikkerheden ved Elzonris blev vurderet som acceptabel ved iværksættelse af specifikke forholdsregler for at minimere risikoen for de alvorligste bivirkninger.

Elzonris er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Elzonris. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

## **Hvilke oplysninger afventes der stadig for Elzonris?**

Da Elzonris er godkendt under særlige omstændigheder, skal den virksomhed, der markedsfører Elzonris, fremlægge resultaterne af et studie baseret på et register over patienter med BPDCN med henblik på yderligere at karakterisere virkningen og sikkerheden ved Elzonris.

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

Virksomheden, der markedsfører Elzonris, vil udarbejde informationsmateriale til sundhedspersoner og et patientkort med vigtige oplysninger om kapillærlækagesyndrom.

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 Elzonris.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Elzonris løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Elzonris vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## **Andre oplysninger om Elzonris**

Yderligere information om Elzonris findes på agenturets websted under:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris).

Denne oversigt blev sidst ajourført i 12-2020.