



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Elzonris (*Tagraxofusp*)

Übersicht über Elzonris und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Elzonris und wofür wird es angewendet?

Elzonris ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen mit blastischer plasmazytoider dendritischer Zellneoplasie (BPDCN), einer Art von Blutkrebs, der viele Organe einschließlich der Haut, des Knochenmarks (das schwammartige Gewebe im Inneren der großen Knochen) und der Lymphknoten befallen kann.

BPDCN ist „selten“ und Elzonris wurde am 11. November 2015 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567.

Elzonris enthält den Wirkstoff Tagraxofusp.

Wie wird Elzonris angewendet?

Elzonris ist als Tropfinfusion in eine Vene und nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Es sollte nur unter Aufsicht eines in der Anwendung von Krebsarzneimitteln erfahrenen Arztes und in einer Behandlungsumgebung angewendet werden, in der Wiederbelebungsgaräte zur Verfügung stehen.

Die empfohlene Dosis beträgt 12 Mikrogramm pro Kilogramm Körpergewicht, die einmal täglich für die Dauer von 15 Minuten über eine Infusion gegeben wird. Elzonris wird an den ersten 5 Tagen eines 21-tägigen Zyklus gegeben; die Zyklen werden wiederholt, es sei denn, die Krankheit verschlimmert sich oder die Patienten haben unannehmbare Nebenwirkungen.

Der erste Zyklus wird in einem Krankenhaus gegeben und die Patienten sollten mindestens 24 Stunden nach der letzten Infusion auf Nebenwirkungen überwacht werden. Nachfolgende Zyklen können in einer ambulanten Umgebung gegeben werden, die für eine intensive Überwachung von Patienten, die gegen Blutkrebs behandelt werden, ausgestattet ist.

Etwa eine Stunde vor jeder Infusion sollten den Patienten Antihistaminika, ein Kortikosteroid und Paracetamol gegeben werden, um das Risiko allergischer Reaktionen zu senken.

Weitere Informationen zur Anwendung von Elzonris entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

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



Wie wirkt Elzonris?

Der Wirkstoff in Elzonris, Tagraxofusp, besteht aus Diphtherietoxin (ein Stoff, der für Zellen giftig ist), das mit einem Protein namens Interleukin-3 verbunden ist. Der Interleukin-3-Anteil des Arzneimittels bindet an Rezeptoren (Ziele), die in einer hohen Anzahl auf BPDCN-Zellen zu finden sind. Sobald das Arzneimittel an Krebszellen gebunden ist, wird es von den Krebszellen aufgenommen, sodass das Toxin im Inneren freigesetzt wird und sie abtötet. Auf diese Weise sollen die Ausbreitung des Krebses verhindert und die Symptome der Krankheit verringert werden.

Welchen Nutzen hat Elzonris in den Studien gezeigt?

Elzonris wurde in einer Studie mit 84 Erwachsenen mit BPDCN (65 zuvor unbehandelte und 19 zuvor mit anderen Arzneimitteln behandelte Patienten) untersucht.

Die Studie zeigte, dass 57 % (37 von 65) der zuvor unbehandelten Patienten nach der Behandlung mit Elzonris keine Anzeichen einer Erkrankung oder minimale Hautschäden aufwiesen. Darüber hinaus konnte etwa ein Drittel (21 von 65) dieser Patienten eine Stammzelltransplantation erhalten (ein Verfahren, bei dem das Knochenmark des Patienten durch Stammzellen von einem Spender ersetzt wird, um neues Knochenmark zu bilden, das gesunde Zellen bildet), was dazu beitrug, dass die Patienten länger überlebten.

Welche Risiken sind mit Elzonris verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Elzonris (die mehr als 1 von 5 Behandelten betreffen können) sind Hypoalbuminämie (niedrige Albuminspiegel im Blut), erhöhte Transaminasen im Blut (ein Anzeichen für Leberprobleme), Thrombozytopenie (verminderte Zahl der Blutplättchen), Übelkeit, Müdigkeit und Fieber.

Eine sehr häufige Nebenwirkung, die während der Behandlung mit Elzonris auftreten kann, ist das Kapillarlecksyndrom (eine unvorhersehbare, lebensbedrohliche Nebenwirkung, die durch kleine undichte Blutgefäße entsteht), die bis zu 1 von 5 Behandelten betreffen kann.

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Elzonris berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Elzonris in der EU zugelassen?

Obwohl die Studie klein angelegt war und Elzonris nicht mit anderen Behandlungen verglichen wurde, war die Europäische Arzneimittel-Agentur der Auffassung, dass die Durchführung größerer Studien zu dieser seltenen Krankheit eine Herausforderung darstellt. Nach Prüfung zusätzlicher Empfehlungen von Sachverständigen aus der Praxis kam die Agentur zu dem Schluss, dass der Nutzen von Elzonris bei Patienten mit BPDCN, die noch keine anderen Behandlungen erhalten haben, gegenüber den Risiken überwiegt und dass das Arzneimittel für die Anwendung in der EU zugelassen werden kann. Die Daten reichten jedoch nicht aus, um bei Patienten, bei denen frühere Behandlungen nicht wirksam waren, zu einer gleichen Schlussfolgerung zu gelangen. Die Sicherheit von Elzonris wurde bei Einleitung spezifischer Maßnahmen zur Minimierung des Risikos schwerster Nebenwirkungen als annehmbar erachtet.

Elzonris wurde unter „Außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Elzonris zu erlangen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Übersicht wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Elzonris noch erwartet?

Da Elzonris unter „Außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen wurde, wird das Unternehmen, das Elzonris in Verkehr bringt, die Ergebnisse einer Studie auf der Grundlage eines Registers von Patienten mit BPCDN bereitstellen, um die Wirksamkeit und Sicherheit von Elzonris genauer zu charakterisieren.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Elzonris ergriffen?

Das Unternehmen, das Elzonris in Verkehr bringt, wird Schulungsmaterialien für medizinisches Fachpersonal sowie einen „Patientenpass“ mit wichtigen Informationen über das Kapillarlecksyndrom für Patienten bereitstellen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Elzonris, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Elzonris kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Elzonris werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Elzonris

Weitere Informationen zu Elzonris finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris.

Diese Übersicht wurde zuletzt im 12-2020 aktualisiert.