



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Elzonris (*tagraksofuspi*)

Yleistiedot Elzonrisistä sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Elzonris on ja mihin sitä käytetään?

Elzonris on lääke, jolla hoidetaan aikuisten blastista plasmasytoidista dendriittisolukasvainta (BPDCN:ää). Se on yksi verisyövän tyyppi, joka voi ilmaantua moniin elimiin, kuten ihoon, luuytimeen (suurten luiden sisällä oleva sienimäinen kudosa) ja imusolmukkeisiin.

BPDCN on harvinainen sairaus, ja Elzonris nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 11. marraskuuta 2015. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567.

Elzonrisin vaikuttava aine on tagraksofuspi.

Miten Elzonrisiä käytetään?

Elzonrisiä on saatavana laskimoon annettavana infuusiona (tiputuksena), ja sitä saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Sitä saa antaa vain syöpälääkkeiden käyttöön erikoistuneen lääkärin valvonnassa sellaisessa ympäristössä, jossa on saatavilla elvytysvälineet.

Suosittelun annos on 12 mikrogrammaa painokiloa kohti kerran päivässä 15 minuutin pituisena infuusiona. Elzonrisiä annetaan 21 päivän mittaisen syklin viitenä ensimmäisenä päivänä. Syklejä toistetaan siihen saakka, kunnes sairaus pahenee tai potilaalle kehittyy sellaisia haittavaikutuksia, joita ei voida pitää hyväksyttävänä.

Ensimmäisessä hoitosyklissä lääke annetaan sairaalassa, ja potilaita on seurattava haittavaikutusten varalta vähintään 24 tunnin ajan viimeisestä infuusiosta. Seuraavissa sykleissä lääke voidaan antaa poliklinikalla, jossa on asianmukaiset välineet verisyövän takia hoidettavien potilaiden intensiiviseen seurantaan.

Potilaille on annettava antihistamiinilääkkeitä, kortikosteroidia ja parasetamolia noin tuntia ennen jokaista infuusiota. Näin pienennetään allergiaan liittyvien reaktioiden riskiä.

Lisätietoja Elzonrisin 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 Elzonris vaikuttaa?

Elzonrisin vaikuttava aine, tagraksofuspi, valmistetaan kurkkumätätoksiinista (aineesta, joka on soluille myrkyllinen), joka yhdistetään interleukiini 3 -nimiseen proteiiniin. Lääkkeen interleukiini 3 -osa kiinnittyy reseptoreihin (kohteisiin), joita tavataan suuria määriä BPDCN-soluissa. Kun lääke kiinnittyy syöpäsoluihin, se imeytyy niihin, jolloin toksiini voi vapautua solujen sisällä ja tappaa ne. Tämän oletetaan ehkäisevän syövän leviämistä ja vähentävän sairauden oireita.

Mitä hyötyä Elzonrisistä on havaittu tutkimuksissa?

Elzonrisiä tutkittiin yhdessä tutkimuksessa, johon osallistui 84 aikuista BPDCN-potilasta (heistä 65 ei ollut saanut hoitoa aiemmin ja 19:ää potilasta oli hoidettu aiemmin muilla lääkkeillä).

Tutkimus osoitti, että 57 prosentilla (37 potilaalla 65:stä) aiemmin hoitamattomista potilaista ei ollut merkkejä sairaudesta tai oli vain hyvin vähäinen ihovaurio Elzonris-hoidon jälkeen. Lisäksi noin kolmannekselle (21 potilaalle 65:stä) näistä potilaista voitiin tehdä kantasolusiirto (toimenpide, jossa potilaan luuydin korvataan luovuttajalta saaduilla kantasoluilla ja niistä muodostuu uutta luuydintä, joka tuottaa terveitä soluja). Tämän ansiosta potilaat elivät pidempään.

Mitä riskejä Elzonrisiin liittyy?

Elzonrisin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle viidestä) ovat hypoalbuminemia (veren pieni albumiinipitoisuus), veren transaminaasiarvojen suureneminen (merkki maksaongelmista), trombosytopenia (verihiutaleiden vähäisyys), pahoinvointi, väsymys ja kuume.

Vakavin haittavaikutus, jota voi ilmetä Elzonris-hoidon aikana, on hiusuonivuoto-oireyhtymä (ennalta-arvaamaton hengenvaarallinen haittavaikutus, joka johtuu siitä, että pienistä verisuonista alkaa tihkua verta kudoksiin), jota voi aiheutua enintään yhdelle viidestä potilaasta.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Elzonrisin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Elzonris on hyväksytty EU:ssa?

Vaikka tutkimus oli pieni eikä Elzonrisiä vertailtu muihin hoitoihin, Euroopan lääkevirasto katsoi, että laajempien tutkimusten tekeminen tästä harvinaissairaudesta on haasteellista. Arvioituaan alan asiantuntijoilta saamansa lisäneuvot virasto katsoi, että Elzonrisin hyödyt ovat sen riskejä suuremmat niillä BPDCN-potilailla, jotka eivät ole vielä saaneet muita hoitoja, ja että lääke voidaan hyväksyä käyttöön EU:ssa. Sen sijaan niiden potilaiden osalta, joilla aiemmat hoidot eivät olleet tehonneet, tietoja oli liian vähän eikä samaa päätelmää voitu tehdä. Elzonrisin turvallisuutta pidettiin hyväksyttävänä, kun käytössä on erityistoimia, joilla minimoidaan vakavimpien haittavaikutusten riski.

Elzonris on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Elzonrisistä ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Elzonrisistä odotetaan vielä saatavan?

Koska Elzonrisin myyntilupa on annettu poikkeusolosuhteissa, Elzonrisiä markkinoiva yhtiö toimittaa tulokset tutkimuksesta, joka perustuu BPDCN-potilaiden rekisteriin. Näin Elzonrisin tehoa ja turvallisuutta voidaan luonnehtia nykyistä tarkemmin.

Miten voidaan varmistaa Elzonrisin turvallinen ja tehokas käyttö?

Yhtiö, joka markkinoi Elzonrisiä, toimittaa terveydenhuollon ammattilaisille perehdytysmateriaaleja ja potilaille potilaskortin, joka sisältää tärkeää tietoa hiussuonivuoto-oireyhtymästä.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Elzonrisin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

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

Muita tietoja Elzonrisistä

Lisätietoja Elzonrisistä saa viraston verkkosivustolta osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris.

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 12-2020.