



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Elzonris (*tagraxofusp*)

Az Elzonris-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Elzonris és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Elzonris-t a blasztos plazmacitoid dendritikus sejtes neoplázia (BPDCN) kezelésére alkalmaznak felnőtteknél. Ez a vérrák egy olyan típusa, amely több szervet érinthet, beleértve a bőrt, a csontvelőt (a nagy csontokon belül található szivacsos állományt) és a nyirokcsomókat is.

Mivel a BPDCN „ritkának” minősül, ezért az Elzonris-t 2015. november 11-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567.

Az Elzonris hatóanyaga a tagraxofusp.

Hogyan kell alkalmazni az Elzonris-t?

Az Elzonris vénás infúzió formájában, és kizárólag receptre kapható. A gyógyszert csak a daganatellenes gyógyszerek alkalmazásában jártas orvos felügyelete mellett szabad alkalmazni olyan helyen, ahol az újraélesztéshez szükséges berendezés rendelkezésre áll.

Az ajánlott adag 12 mikrogramm/ttkg naponta egyszer, 15 percen keresztül alkalmazott infúzióban. Az Elzonris-t egy 21 napos ciklus első 5 napján alkalmazzák; a ciklusokat meg kell ismételni, kivéve, ha a betegség súlyosbodik, vagy ha a betegnél elfogadhatatlan mellékhatások jelentkeznek.

Az első ciklust kórházban kell beadni, és a betegeket az utolsó infúziót követően legalább 24 órán keresztül megfigyelés alatt kell tartani a mellékhatások szempontjából. Az ezt követő ciklusok olyan járóbeteg-intézményekben is adhatók, amelyek alkalmasak a vérrák elleni kezelésben részesülő betegek szoros megfigyelésére.

Az egyes infúziók beadása előtt egy órával a betegeknek antihisztamin-tartalmú gyógyszereket, kortikoszteroidot és paracetamolt kell kapniuk az allergiaszerű reakciók kockázatának csökkentése érdekében.

Az Elzonris alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását az Elzonris?

Az Elzonris hatóanyaga, a tagraxofusp egy interleukin-3-nak nevezett fehérjéhez kapcsolt diftériatoxinból (a sejtek számára mérgező anyagból) áll. A gyógyszer interleukin-3 része olyan receptorokhoz (a célreceptorokhoz) kötődik, amelyek nagy számban fordulnak elő a BPDCN-sejtekben. A daganatos sejtekhez való kapcsolódást követően a sejtek a gyógyszert felveszik, így a toxin bekerülhet a sejtekbe, ami elpusztítja őket. Ez várhatóan megakadályozza a daganat terjedését és csökkenti a betegség tüneteit.

Milyen előnyei voltak az Elzonris alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Elzonris-t egy vizsgálatban tanulmányozták, amelyben 84, BPDCN-ben szenvedő felnőtt vett részt (65 korábban nem kezelt és 19 korábban más gyógyszerekkel kezelt beteg).

A vizsgálat azt mutatta, hogy az Elzonris-kezelést követően a korábban nem kezelt betegek 57%-ánál (65-ből 37) nem mutatkozott betegség jele, illetve minimális bőrkárosodás jelentkezett. Ezenkívül ezeknek a betegeknek körülbelül egyharmada (65-ből 21) részesülhetett összejt-átültetésben (az eljárás során a beteg csontvelőjét egy donor összejtjeivel helyettesítik, hogy új, egészséges sejteket létrehozó csontvelőt képezzenek), ami hozzájárult ahhoz, hogy a betegek hosszabb ideig éljenek.

Milyen kockázatokkal jár az Elzonris alkalmazása?

Az Elzonris leggyakoribb mellékhatásai (5 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a hipoalbuminémia (alacsony véralbuminszint), a megnövekedett transzaminázszint (májproblémák jele), trombocitopénia (alacsony vérlemezkeszám), hányinger, fáradtság és láz.

Az Elzonris-kezelés során előforduló legsúlyosabb mellékhatás a kapilláris szivárgás szindróma (előre nem látható, életveszélyes mellékhatás a kisméretű vérerek szivárgása miatt), amely 5 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet.

Az Elzonris alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az Elzonris forgalomba hozatalát az EU-ban?

Bár a vizsgálat kisméretű volt, és az Elzonris-t nem hasonlították össze más kezelésekkel, az Európai Gyógyszerügynökség úgy vélte, hogy e ritka betegséggel kapcsolatos nagyobb vizsgálatok elvégzése nagy kihívást jelent. A terület szakértőinek további tanácsait mérlegelve az Ügynökség arra a következtetésre jutott, hogy az Elzonris alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat a BPDCN-ben szenvedő, más kezelésben még nem részesült betegeknél, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható. Az adatok azonban nem voltak elegendőek ahhoz, hogy ugyanerre a következtetésre jussanak azon betegek esetében is, akiknél a korábbi kezelések nem voltak hatásosak. Az Elzonris biztonságosságát a legsúlyosabb mellékhatások kockázatának minimalizálását célzó speciális intézkedések alkalmazása mellett elfogadhatónak ítélték.

Az Elzonris forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ennek oka, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni az Elzonris-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még az Elzonris-szal kapcsolatban?

Mivel az Elzonris forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, az Elzonris-t forgalmazó vállalat be fogja nyújtani a BPCDN-ben szenvedő betegek nyilvántartásán alapuló vizsgálat eredményeit az Elzonris hatékonyságának és biztonságosságának további jellemzése céljából.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Elzonris biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Elzonris-t forgalmazó vállalat oktatóanyagokat fog biztosítani az egészségügyi szakemberek számára, valamint figyelmeztető kártyát a kapilláris szivárgás szindrómával kapcsolatos fontos információkkal a betegek számára.

Az Elzonris biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Elzonris alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Elzonris alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Elzonris-szel kapcsolatos egyéb információ

Az Elzonris-szel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 12-2020.