



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Elzonris (*tagraxofusp*)

Een overzicht van Elzonris en waarom het is geregistreerd in de EU

### Wat is Elzonris en wanneer wordt het voorgeschreven?

Elzonris is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met blastair plasmacytoïd dendritische cel-neoplasma (BPDCN), een type bloedkanker dat vele organen kan aantasten, waaronder de huid, het beenmerg (het sponzige weefsel in de grote botten) en de lymfeklieren.

BPDCN is zeldzaam, en Elzonris werd op 11 november 2015 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567).

Elzonris bevat de werkzame stof tagraxofusp.

### Hoe wordt Elzonris gebruikt?

Elzonris is verkrijgbaar voor infusie (indruppeling) in een ader en is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. Het middel mag alleen worden toegediend onder toezicht van een arts die ervaring heeft met het gebruik van kankergeneesmiddelen, in een omgeving waar reanimatieapparatuur aanwezig is.

De aanbevolen dosis is eenmaal daags 12 microgram per kilogram lichaamsgewicht, wat gedurende 15 minuten door middel van infusie wordt toegediend. Elzonris wordt op de eerste 5 dagen van een 21-daagse cyclus toegediend; cycli worden herhaald, tenzij de ziekte erger wordt of patiënten onaanvaardbare bijwerkingen krijgen.

De eerste cyclus wordt in een ziekenhuis toegediend en patiënten moeten na de laatste infusie gedurende ten minste 24 uur op bijwerkingen worden gecontroleerd. Daaropvolgende cycli kunnen worden toegediend in een ambulante omgeving die is uitgerust voor intensieve monitoring van patiënten die voor bloedkanker worden behandeld.

Ongeveer één uur voor elke infusie moeten patiënten antihistaminica, een corticosteroïd en paracetamol krijgen om het risico op allergie-achtige reacties te verlagen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Elzonris.

---

**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



## **Hoe werkt Elzonris?**

De werkzame stof in Elzonris, tagraxofusp, bestaat uit difterietoxine (een stof die giftig is voor cellen) gekoppeld aan een eiwit met de naam interleukine 3. Het interleukine-3-gedeelte van het geneesmiddel hecht zich aan receptoren (doelwitten) die zich in grote aantallen op BPDCN-cellen bevinden. Na hechting aan kankercellen wordt het geneesmiddel door deze cellen opgenomen, waardoor het toxine binnenin kan worden afgegeven en de kankercellen worden gedood. Naar verwachting zal dit de verspreiding van de kanker voorkomen en de symptomen van de ziekte verminderen.

## **Welke voordelen bleek Elzonris tijdens de studies te hebben?**

Elzonris werd onderzocht in één studie onder 84 volwassenen met BPDCN (van wie 65 niet eerder en 19 eerder waren behandeld met andere geneesmiddelen).

Uit de studie bleek dat 57 % (37 van de 65) van de niet eerder behandelde patiënten geen tekenen van ziekte vertoonde of minimale huidbeschadiging had na behandeling met Elzonris. Daarnaast was ongeveer een derde (21 van de 65) van deze patiënten in staat om stamceltransplantatie te ondergaan (een procedure waarbij het beenmerg van de patiënt door stamcellen van een donor wordt vervangen om nieuw beenmerg te vormen dat gezonde cellen produceert), wat ertoe bijdroeg dat patiënten langer leefden.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Elzonris in?**

De meest voorkomende bijwerkingen van Elzonris (die bij meer dan 1 op de 5 personen kunnen optreden) zijn hypoalbuminemie (lage bloedconcentratie albumine), verhoogde bloedconcentratie transaminasen (een teken van leverproblemen), trombocytopenie (laag aantal bloedplaatjes), misselijkheid, vermoeidheid en koorts.

De ernstigste bijwerking die tijdens behandeling met Elzonris kan optreden is capillairlekyndroom (een onvoorspelbare, levensbedreigende bijwerking doordat kleine bloedvaten gaan lekken), die bij maximaal 1 op de 5 mensen kan optreden.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Elzonris.

## **Waarom is Elzonris geregistreerd in de EU?**

Hoewel de studie klein was en Elzonris niet met andere behandelingen werd vergeleken, was het Europees Geneesmiddelenbureau van mening dat het uitvoeren van grotere studies voor deze zeldzame ziekte lastig is. Na beoordeling van aanvullend advies van deskundigen op dit gebied, concludeerde het Geneesmiddelenbureau dat de voordelen van Elzonris groter zijn dan de risico's bij patiënten met BPDCN die nog geen andere behandelingen hadden gekregen, en dat het geneesmiddel kan worden goedgekeurd voor gebruik in de EU. De gegevens waren echter niet toereikend om dezelfde conclusie te trekken voor patiënten bij wie eerdere behandelingen niet werkten. De veiligheid van Elzonris werd aanvaardbaar geacht als specifieke maatregelen worden getroffen om het risico op de ernstigste bijwerkingen tot een minimum te beperken.

Elzonris is goedgekeurd onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Elzonris te verkrijgen. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

## **Welke informatie wordt nog verwacht voor Elzonris?**

Aangezien Elzonris onder 'uitzonderlijke omstandigheden' is goedgekeurd, zal het bedrijf dat Elzonris op de markt brengt de resultaten verstrekken van een studie die is gebaseerd op een register van patiënten met BPCDN, om de werkzaamheid en veiligheid van Elzonris verder te karakteriseren.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Elzonris te waarborgen?**

Het bedrijf dat Elzonris op de markt brengt, zal aan professionele zorgverleners voorlichtingsmateriaal verstrekken en aan patiënten een 'waarschuwingskaart' met belangrijke informatie over het capillairleksyndroom.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Elzonris zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Elzonris continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Elzonris worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

## **Overige informatie over Elzonris**

Meer informatie over Elzonris is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris).

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 12-2020.