



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Elzonris (*tagraksofusp*)

Przegląd wiedzy na temat leku Elzonris i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Czym jest lek Elzonris i w jakim celu się go stosuje

Elzonris to lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z nowotworem z blastycznych plazmacytoidalnych komórek dendrytycznych (BPDCN) — rodzajem nowotworu krwi, który może wpływać na wiele narządów, w tym na skórę, szpik kostny (gąbczastą tkankę występującą we wnętrzu dużych kości) i węzły chłonne.

Ze względu na to, że chorobę BPDCN uznano za rzadko występującą, w dniu 11 listopada 2015 r. lek Elzonris uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć tutaj: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567).

Lek Elzonris zawiera substancję czynną tagraksofusp.

### Jak stosować lek Elzonris

Lek Elzonris jest dostępny w postaci wlewu podawanego dożylnie (kroplówki). Lek wydawany na receptę. Lek powinien być podawany pod nadzorem lekarza mającego doświadczenie w stosowaniu leków przeciwnowotworowych, przy zapewnieniu dostępności sprzętu do resuscytacji.

Zalecana dawka wynosi 12 mikrogramów na kilogram masy ciała raz na dobę, podawana we wlewie trwającym 15 minut. Lek Elzonris podaje się przez pierwszych 5 dni 21-dniowego cyklu, a cykle powtarza się do momentu nasilenia się choroby lub wystąpienia u pacjenta nieakceptowalnych działań niepożądanych.

Pierwszy cykl podawany jest w szpitalu, a pacjenta należy monitorować przez co najmniej 24 godziny po podaniu ostatniego wlewu pod kątem działań niepożądanych. Późniejsze cykle mogą być podawane w ambulatorium, w którym możliwe jest intensywne monitorowanie pacjentów leczonych z powodu nowotworów krwi.

Na około godzinę przed każdym wlewem pacjentowi należy podać leki przeciwhistaminowe, kortykosteroid oraz paracetamol, aby obniżyć ryzyko wystąpienia reakcji typu alergicznego.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Elzonris znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

---

**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



## **Jak działa lek Elzonris**

Substancja czynna leku Elzonris, tagraksofusp, jest zbudowana z toksyny błoniczej (substancji trującej dla komórek) połączonej z białkiem o nazwie interleukina 3. Fragment interleukiny 3 w cząsteczce leku przyłącza się do receptorów (celi) występujących na znacznej ilości komórek BPDCN. Po przyłączeniu się lek jest wchłaniany do komórki, co umożliwia uwolnienie w jej wnętrzu toksyny i zabija komórkę. Oczekuje się, że takie działanie zapobiegnie rozprzestrzenianiu się nowotworu i ograniczy objawy choroby.

## **Korzyści ze stosowania leku Elzonris wykazane w badaniach**

Lek Elzonris oceniano w jednym badaniu z udziałem 84 osób dorosłych z BPDCN (65 osób wcześniej nieleczonych i 19 leczonych innymi lekami).

Badanie wykazało, że u 57% (37 z 65) wcześniej nieleczonych pacjentów po zastosowaniu leku Elzonris nie występowały objawy choroby albo uszkodzenie skóry było minimalne. Ponadto około jedna trzecia (21 z 65) tych pacjentów mogła zostać poddana przeszczepowi komórek macierzystych (procedurze, w której własny szpik kostny pacjenta zastępowany jest komórkami macierzystymi pobranymi od dawcy, które budują nowy szpik kostny wytwarzający zdrowe komórki), co zwiększało czas przeżycia pacjentów.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Elzonris**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Elzonris (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 5 pacjentów) to: hipoalbuminemia (niskie stężenie albuminy we krwi), zwiększone stężenie transaminaz we krwi (objaw problemów z wątrobą), trombocytopenia (małopłytkowość, niska liczba płytek krwi), nudności (mdłości), zmęczenie i gorączka.

Najcięższym działaniem niepożądanym, jakie może wystąpić podczas stosowania leku Elzonris, jest zespół przesączania włośniczkowego (niemożliwe do przewidzenia, zagrażające życiu działanie niepożądane związane z utratą szczelności drobnych naczyń krwionośnych), które może wystąpić u maksymalnie 1 na 5 osób.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Elzonris znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Elzonris w UE**

Choć przeprowadzono badanie na małej grupie, a leku Elzonris nie porównywano z innymi sposobami leczenia, Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że w przypadku tej choroby przeprowadzenie badań na większej grupie stanowi wyzwanie. Uwzględnivszy dodatkowe porady uzyskane od specjalistów w dziedzinie, Agencja uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Elzonris przewyższają ryzyko u pacjentów z BPCDN, którzy nie byli wcześniej leczeni, i może on być dopuszczony do stosowania w UE. Jednakże dostępne dane nie były wystarczające do wyciągnięcia tych samych wniosków w przypadku pacjentów, u których wcześniejsze leczenie nie zadziało. Bezpieczeństwo stosowania leku Elzonris uznano za akceptowalne pod warunkiem zastosowania konkretnych środków pozwalających ograniczyć ryzyko wystąpienia najpoważniejszych działań niepożądanych.

Lek Elzonris dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Elzonris z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

## **Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Elzonris**

W związku z tym, że lek Elzonris uzyskał dopuszczenie do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca lek Elzonris do obrotu dostarczy wyniki badania rejestrowego pacjentów z BPCDN w celu dokładniejszego określenia skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Elzonris**

Firma, która wprowadza lek Elzonris do obrotu, dostarczy materiały edukacyjne dla pracowników opieki zdrowotnej oraz kartę ostrzegawczą dla pacjentów, zawierające istotne informacje na temat zespołu przesączania włósniczkowego.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Elzonris w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków dane o stosowaniu leku Elzonris są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Elzonris są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące leku Elzonris**

Dalsze informacje na temat leku Elzonris znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris).

Data ostatniej aktualizacji: 12.2020.