



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/435928/2015
EMA/H/C/003725

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Farydak

panobinosztát

Ez a dokumentum a Farydak-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Farydak alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Farydak alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Farydak és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Farydak két másik gyógyszerrel, a bortezomibbal és a dexametazonnal kombinációban alkalmazott, a csontvelő-daganat (myeloma multiplex) kezelésére szolgáló rákgyógyszer. Olyan felnőtteknek adják, akiknek a betegsége kiújult vagy súlyosbodott legalább két korábbi, bortezomibot és egy immunmoduláló szert (az immunrendszerre ható gyógyszer) tartalmazó kezelést követően.

A Farydak hatóanyaga a panobinosztát.

Mivel a myeloma multiplexben szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Farydak-ot 2012. november 8-án „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

Hogyan kell alkalmazni a Farydak-ot?

A Farydak kezelést csak a daganatok kezelésében jártas orvos kezdheti el, és a gyógyszer csak receptre kapható.

A Farydak kapszula (10, 15 és 20 mg) formájában kapható, és 21 napos kezelési ciklusokban, bortezomibbal és dexametazonnal együtt adják. A Farydak ajánlott kezdő adagja 20 mg, a ciklus 1.,



3., 5., 8., 10. és 12. napján alkalmazva. A betegek 8 cikluson át kapják a gyógyszert, és további 8 kezelési ciklus javasolt azoknál, akiknél kedvező klinikai hatás mutatkozik. Azon betegeknél, akiknél súlyos mellékhatásokat észlelnek, előfordulhat, hogy az orvosnak módosítania kell az adagolást, vagy le kell állítania a kezelést. További információk a (a termék tájékoztató részét képező) alkalmazási előírásban található.

Hogyan fejti ki hatását a Farydak?

A Farydak hatóanyaga, a panobinosztát, egy hiszton-deacetiláz (HDAC) -inhibitornak nevezett gyógyszer, amely gátolja a gének aktivitásának a sejtekben történő be- és kikapcsolásában részt vevő hiszton-deacetiláz nevű enzimek (HDAC-k) aktivitását. Myeloma multiplex esetén a panobinosztát a daganatos sejtek osztódását és növekedését elnyomó géneket feltehetően „bekapcsolva” tartja. Ez feltehetően leállítja a daganatos sejtek szaporodását, és olyan folyamatokat aktivál, amelyek megölik a sejtet, ezáltal lassítja a daganat növekedését.

Milyen előnyei voltak a Farydak alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Farydak kedvező hatásait egy 768 olyan beteg részvételével végzett fő vizsgálatban igazolták, akik korábbi kezeléseik után kiújult myeloma multiplexben szenvedtek. A gyógyszert placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze a bortezomibbal és dexametazonnal végzett kezelések kiegészítéseként. A fő hatékonysági mutató annak az időszaknak az átlagos hossza volt, amely előtt a betegség újra súlyosbodott (progressziómentes túlélés), és ami a Farydak-kal kezelt betegeknél 12 hónap, míg a placebóval kezelték esetén körülbelül 8 hónap volt.

Amikor csak annak a betegcsoportnak az eredményeit elemezték, amelyek korábban legalább két, bortezomibot és egy immunmoduláló szert (talidomid, lenalidomid vagy pomalidomid) tartalmazó kezelést kaptak, a myeloma súlyosbodása előtt eltelt átlagos idő 12,5 hónap volt Farydak, míg 4,7 hónap placebó alkalmazása esetén.

Milyen kockázatokkal jár a Farydak alkalmazása?

A Farydak leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a hasmenés, a fáradtság, a hányinger (émelygés) és hányás, valamint a vérre gyakorolt hatások, például a trombocitopénia (a véralvadásban fontos szerepet játszó vérlemezék alacsony szintje), az anémia, a neutropénia és a limfopénia (bizonyos fehérvérsejtek alacsony szintje). A legjelentősebb hatások, amelyek ahhoz vezettek, hogy a betegeknek abba kellett hagyniuk a kezelést (és amelyek 10 beteg közül mintegy 4-nél léptek fel), a hasmenés, a gyengeség és fáradtság, valamint a pneumónia (tüdőfertőzés) voltak. A szívre gyakorolt hatások – köztük a tachikardia (felgyorsult szívverés), a palpitáció és a szívritmuszavarok – 10 beteg közül 1–2-nél jelentkeztek; a betegeknél ritkábban fordultak elő a szív elektromos ingerületvezetésének változásai (megnyúlt QTc-intervallum). A Farydak alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a beteg tájékoztatóban található.

A Farydak szoptató nőknél nem alkalmazható. A korlátozások teljes felsorolása a beteg tájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Farydak forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a progressziómentes túlélésben tapasztalható növekedés klinikailag jelentős, bár megjegyezte, hogy az általános túlélés terén nem igazoltak kedvező hatást. Ezenkívül a panobinosztát a rendelkezésre álló kezelésekhöz képest más módon hat. Ez azt jelenti, hogy új alternatívát kínál azon

betegek számára, akik korábban legalább két, bortezomibot és egy immunmoduláló szert tartalmazó kezelést kaptak, akiknek korlátozott kezelési lehetőségek állnak rendelkezésükre, és ezért nagymértékben kielégítetlen a gyógyszerigényük. Bár a mellékhatások aggodalomra adtak okot, és nem voltak igazolhatók azon betegek esetében, akik kevesebb toxikus kezelést kaphattak, a CHMP úgy vélte, hogy alternatívák hiányában ezek a betegek elfogadhatók és kezelhetők voltak ebben a korábban kezelt alcsoportban. A CHMP ezért úgy döntött, hogy ebben a csoportban a Farydak alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Farydak biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Farydak lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Farydak-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

Ezenfelül a Farydak-ot forgalmazó vállalat oktatási anyagokat fog biztosítani a betegek számára, beleértve a betegkártyát, hogy segítsen nekik helyesen szedni a gyógyszert. A fő vizsgálatból származó végső elemzést is fog biztosítani a gyógyszerrel kezelt betegek túlélésének időtartamára vonatkozóan.

További információ a [kockázatkezelési terv összefoglalójában található](#).

A Farydak-kal kapcsolatos egyéb információ

A Farydak-ra vonatkozó teljes EPAR és kockázatkezelési terv összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Farydak-kal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Farydak-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).