



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100087/2023
EMA/H/C/005896

Hyftor (*sirolimus*)

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

Wat is Hyftor en wanneer wordt het voorgeschreven?

Hyftor is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van goedaardige (niet-kankerachtige) huidtumoren in het gelaat (faciaal angiofibroom) die worden veroorzaakt door een genetische aandoening, genaamd tubereuze sclerose complex (TSC). Het middel wordt gebruikt bij volwassenen en kinderen van 6 jaar en ouder.

Tubereuze sclerose complex is zeldzaam en Hyftor werd op 23 augustus 2017 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Hyftor is een 'hybride geneesmiddel'. Dit betekent dat het gelijkwaardig is aan een referentiegeneesmiddel dat dezelfde werkzame stof bevat, maar dat het op een andere wijze wordt toegediend. Het referentiegeneesmiddel Rapamune wordt via de mond ingenomen (in de vorm van tabletten of een vloeistof), terwijl Hyftor beschikbaar is in de vorm van een gel die op de huid moet worden aangebracht.

Hyftor bevat de werkzame stof sirolimus.

Hoe wordt Hyftor gebruikt?

Hyftor is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en is beschikbaar in de vorm van een gel die tweemaal daags wordt aangebracht op het gebied van het gezicht dat door angiofibroom is aangedaan. De behandeling moet worden stopgezet als deze na 12 weken geen effect sorteert.

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

Hoe werkt Hyftor?

Het is niet geheel bekend hoe Hyftor werkt bij faciale angiofibroom als gevolg van tubereuze sclerose complex. De werkzame stof in Hyftor, sirolimus, werkt doordat het een enzym blokkeert dat 'mechanistisch doelwit van rapamycine' (mTOR) wordt genoemd. Dit enzym speelt een rol bij de regulering van de celdeling en vertoont een verhoogde activiteit in tumorcellen bij patiënten met

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



tubereuze sclerose complex. Door mTOR te blokkeren, remt sirolimus de deling van tumorcellen, wat naar verwachting de groei van huidtumoren die zich bij deze ziekte voordoen zal verminderen.

Welke voordelen bleek Hyftor tijdens de studies te hebben?

Uit een hoofdstudie onder volwassenen en kinderen van 6 jaar en ouder met faciaal angiofibroom als gevolg van tubereuze sclerose complex is gebleken dat Hyftor werkzaam is bij de behandeling van faciaal angiofibroom. Na 12 weken waren de omvang van faciale angiofibromen en de roodheid bij 18 van de 30 patiënten (60 %) die Hyftor gebruikten verminderd of sterk verminderd, terwijl dit bij geen van de 32 patiënten (0 %) die een placebogel (schijnbehandeling) gebruikten het geval was.

Welke risico's houdt het gebruik van Hyftor in?

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

De meest voorkomende bijwerkingen van Hyftor (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn irritatie op de aanbrengplaats, droge huid, acne en pruritus (jeuk).

Waarom is Hyftor geregistreerd in de EU?

Er is aangetoond dat Hyftor de omvang en de roodheid van faciaal angiofibroom als gevolg van tubereuze sclerose complex vermindert bij volwassenen en kinderen van 6 jaar en ouder. Deze effecten worden als relevante voordelen beschouwd. Het veiligheidsprofiel van het geneesmiddel wordt aanvaardbaar geacht. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Hyftor groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Hyftor te waarborgen?

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

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

Overige informatie over Hyftor

Meer informatie over Hyftor is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hyftor.