



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244286/2021
EMA/H/C/005244

Koselugo (*selumetinib*)

En oversigt over Koselugo, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Koselugo, og hvad anvendes det til?

Koselugo er et lægemiddel, der anvendes til behandling af plexiforme neurofibromer, som er godartede svulster, der vokser langs nerver, når disse giver symptomer og ikke kan fjernes ved operation hos børn fra 3-årsalderen med neurofibromatose type 1 (NF1).

NF1 er sjælden, og Koselugo blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 31. juli 2018. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050.

Koselugo indeholder det aktive stof selumetinib.

Hvordan anvendes Koselugo?

Koselugo leveres som tabletter og fås kun på recept. Behandlingen bør indledes af en læge med erfaring i diagnosticering og behandling af NF1-relaterede svulster.

Den anbefalede dosis Koselugo afhænger af patientens vægt og højde. Lægemidlet tages to gange dagligt med ca. 12 timers mellemrum på tom mave. Lægemidlet bør ikke gives til patienter, der ikke kan synke kapslen hel.

Før og under behandlingen med Koselugo vil lægen kontrollere, hvor godt patientens hjerte, øjne og lever fungerer. Behandlingen bør fortsættes, så længe patientens tilstand er i bedring eller er vedvarende stabil, og bivirkningerne er tålelige. Hvis der opstår visse bivirkninger, kan lægen nedsætte dosis eller helt eller midlertidigt standse behandlingen.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Koselugo, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Koselugo?

Det aktive stof i Koselugo, selumetinib, blokerer enzymerne MEK1 og MEK2 (MEK1/2), som er med til at stimulere cellernes vækst. MEK1/2 er overaktivt ved NF1, så svulstcellerne vokser ukontrolleret. Ved at blokere disse enzymer medvirker Koselugo til at bremse væksten af svulstcellerne.

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



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Koselugo?

Et hovedstudie har vist, at Koselugo er effektivt til at behandle plexiforme neurofibromer hos børn med NF1 ved at mindske størrelsen af disse svulster. I studiet faldt svulststørrelsen med mindst 20 % hos 33 ud af 50 børn (66 %) i alderen 3 år og opefter med NF1 og plexiforme neurofibromer, som ikke kunne fjernes ved operation. I studiet blev Koselugo ikke sammenlignet med noget andet lægemiddel.

Hvilke risici er der forbundet med Koselugo?

De hyppigste bivirkninger ved Koselugo (som kan forekomme hos mere end 4 ud af 10 personer) er opkastning, udslæt, forhøjet kreatinfosfokinase i blodet (et enzym, der frigives til blodet, når musklerne beskadiges), diarré, kvalme, afsvækkelse, tør hud, feber, akneagtigt udslæt, lavt indhold af blodprotein albumin (hypoalbuminæmi), forhøjet aspartataminotransferase (et enzym, der er et muligt tegn på leverproblemer) og negleinfektion.

De hyppigste alvorlige bivirkninger ved Koselugo (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er diarré, lavt antal røde blodlegemer (anæmi), feber, forhøjet kreatinfosfokinase i blodet og forhøjet kreatinin i blodet (et tegn på nyreproblemer).

Koselugo må ikke anvendes hos patienter med svær leversygdom.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Koselugo fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Koselugo godkendt i EU?

Plexiforme neurofibromer kan medføre vansiring, bevægelsesbesvær, smerter og nerveproblemer. Der er ingen godkendte behandlingsmuligheder for børn med plexiforme neurofibromer, som ikke kan fjernes ved operation, og der er derfor et stort udækket medicinsk behov. Koselugo er påvist at være effektivt til at få svulster til at skrump ind hos sådanne børn i alderen 3 år og opefter. Antallet af børn i studiet var lille, fordi sygdommen er sjælden. Selv om sikkerhedsdataene var begrænsede, tyder de på, at bivirkningerne ved Koselugo er håndterbare. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Koselugo opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Koselugo har fået en "betinget godkendelse". Det betyder, at der er flere videnskabelige beviser på vej om lægemidlet, som virksomheden skal fremlægge. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Koselugo?

Da Koselugo har fået en betinget godkendelse, skal virksomheden, der markedsfører lægemidlet, fremlægge yderligere oplysninger fra to igangværende studier, der har til formål at bekræfte fordelene og sikkerheden ved Koselugo hos børn med NF1 i alderen 3 år og opefter. Virksomheden skal desuden gennemføre et tredje studie hos børn for at skaffe flere oplysninger om lægemidlets sikkerhed på lang sigt.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Koselugo?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Koselugo.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Koselugo løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Koselugo vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Koselugo

Yderligere information om Koselugo findes på agenturets websted under:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/koselugo.