



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Koselugo (σελουμετινίμμη)

Ανασκόπηση του Koselugo και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

### Τι είναι το Koselugo και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Koselugo είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία των πλεγματοειδών νευροϊνωμάτων, καλοήθων (μη καρκινικών) όγκων που αναπτύσσονται κατά μήκος των νεύρων, όταν προκαλούν συμπτώματα και δεν μπορούν να αφαιρεθούν χειρουργικά σε παιδιά ηλικίας 3 ετών και άνω με νευροϊνωμάτωση τύπου 1 (NF1).

Η νευροϊνωμάτωση τύπου 1 είναι «σπάνια» και το Koselugo χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 31 Ιουλίου 2018. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050).

Το Koselugo περιέχει τη δραστική ουσία σελουμετινίμμη.

### Πώς χρησιμοποιείται το Koselugo;

Το Koselugo διατίθεται σε μορφή καψακίων και χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό έμπειρο στη διάγνωση και τη θεραπεία όγκων που σχετίζονται με τη νευροϊνωμάτωση τύπου 1.

Η συνιστώμενη δόση του Koselugo εξαρτάται από το βάρος και το ύψος του ασθενούς. Το φάρμακο λαμβάνεται δύο φορές την ημέρα, με άδειο στομάχι, και χρονική απόσταση περίπου 12 ωρών μεταξύ των δόσεων. Το φάρμακο δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που δεν μπορούν να καταπιούν το καψάκιο ολόκληρο.

Πριν από και κατά τη διάρκεια της θεραπείας με το Koselugo, ο γιατρός θα ελέγχει την καλή λειτουργία της καρδιάς, των ματιών και του ήπατος του ασθενούς. Η θεραπεία πρέπει να συνεχίζεται για όσο χρονικό διάστημα η κατάσταση του ασθενούς βελτιώνεται ή παραμένει σταθερή και για όσο διάστημα οι ανεπιθύμητες ενέργειες είναι ανεκτές. Στην περίπτωση που εμφανιστούν ορισμένες ανεπιθύμητες ενέργειες, ο γιατρός μπορεί να μειώσει τη δόση ή να διακόψει προσωρινά ή οριστικά τη θεραπεία.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Koselugo, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

---

**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



## **Πώς δρα το Koselugo;**

Η δραστική ουσία του Koselugo, η σελουμετινίμη, αναστέλλει τη δράση των ενζύμων MEK1 και MEK 2 (MEK1/2), τα οποία μετέχουν στη διέγερση της ανάπτυξης των κυττάρων. Στη νευροϊνωμάτωση τύπου 1 τα ένζυμα MEK1 και MEK2 εμφανίζουν υπερβολικά έντονη δραστηριότητα, γεγονός που καθιστά την ανάπτυξη των καρκινικών κυττάρων ανεξέλεγκτη. Αναστέλλοντας τη δράση των συγκεκριμένων ενζύμων, το Koselugo συμβάλλει στην επιβράδυνση της ανάπτυξης των καρκινικών κυττάρων.

## **Ποια είναι τα οφέλη του Koselugo σύμφωνα με τις μελέτες;**

Σε μια κύρια μελέτη διαπιστώθηκε ότι το Koselugo είναι αποτελεσματικό στη θεραπεία των πλεγματοειδών νευροϊνωμάτων σε παιδιά με νευροϊνωμάτωση τύπου 1, συρρικνώνοντας το μέγεθος των εν λόγω όγκων. Στη μελέτη, το μέγεθος των όγκων μειώθηκε κατά τουλάχιστον 20% σε 33 από τα 50 παιδιά (66%) ηλικίας 3 ετών και άνω με NF1 και πλεγματοειδή νευροϊνώματα που δεν μπορούσαν να αφαιρεθούν χειρουργικά. Στο πλαίσιο αυτής της μελέτης το Koselugo δεν συγκρίθηκε με άλλο φάρμακο.

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Koselugo;**

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Koselugo (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 4 στους 10 ασθενείς) είναι έμετος, εξάνθημα, αυξημένη κρεατινοφωσφοκινάση αίματος (ένα ένζυμο που απελευθερώνεται στο αίμα όταν κάποιος μυς έχει υποστεί βλάβη), διάρροια, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), συμπτώματα εξασθένησης (αδυναμία), ξηροδερμία, πυρετός, ακμοειδές εξάνθημα (εξάνθημα που μοιάζει με ακμή), υπολευκωματιναιμία (χαμηλά επίπεδα λευκωματίνης, μιας πρωτεΐνης του αίματος), αυξημένη ασπартική αμινοτρανσφεράση (ένζυμο που υποδεικνύει πιθανή ένδειξη ηπατικών προβλημάτων) και παρωνυχία (λοιμωξη της κοίτης του όνυχα).

Οι συχνότερες σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες του Koselugo (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στους 10 ασθενείς) είναι διάρροια, αναιμία (χαμηλός αριθμός ερυθρών αιμοσφαιρίων), πυρετός, αυξημένη κρεατινοφωσφοκινάση αίματος και αυξημένη κρεατινίνη αίματος (ένδειξη νεφρικών προβλημάτων).

Το Koselugo δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς με σοβαρή ηπατική νόσο.

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Koselugo περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

## **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Koselugo στην ΕΕ;**

Τα πλεγματοειδή νευροϊνώματα μπορεί να προκαλέσουν παραμόρφωση, κινητικές δυσκολίες, πόνο και προβλήματα στα νεύρα. Δεδομένου ότι για τα παιδιά με πλεγματοειδή νευροϊνώματα που δεν μπορούν να αφαιρεθούν χειρουργικά δεν υπάρχουν εγκεκριμένες θεραπευτικές επιλογές, υπάρχει σημαντική ιατρική ανάγκη η οποία δεν έχει αντιμετωπιστεί. Το Koselugo έχει αποδειχθεί αποτελεσματικό στη συρρίκνωση του μεγέθους των όγκων σε παιδιά ηλικίας 3 ετών και άνω που ανήκουν στη συγκεκριμένη κατηγορία. Λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, ο αριθμός των παιδιών που συμπεριλήφθηκαν στη δοκιμή ήταν μικρός. Παρόλο που τα δεδομένα σχετικά με την ασφάλεια ήταν περιορισμένα, υποδεικνύουν ότι οι ανεπιθύμητες ενέργειες του Koselugo είναι διαχειρίσιμες. Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Koselugo υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Koselugo έχει λάβει «έγκριση υπό όρους». Αυτό σημαίνει ότι αναμένονται περισσότερα δεδομένα σχετικά με το φάρμακο, τα οποία η εταιρεία υποχρεούται να προσκομίσει. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός

Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα ανασκόπηση θα ενημερώνεται αναλόγως.

### **Ποια στοιχεία για το Koselugo αναμένεται να υποβληθούν;**

Δεδομένου ότι το Koselugo έχει λάβει έγκριση υπό όρους, η εταιρεία που εμπορεύεται το φάρμακο θα παράσχει περαιτέρω πληροφορίες από δύο εν εξελίξει μελέτες οι οποίες αποσκοπούν στην επιβεβαίωση του οφέλους και της ασφάλειας του Koselugo σε παιδιά με NF1 ηλικίας 3 ετών και άνω. Η εταιρεία θα διενεργήσει επίσης τρίτη μελέτη σε παιδιά, προκειμένου να παράσχει περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη μακροχρόνια ασφάλεια του φαρμάκου.

### **Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Koselugo;**

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Koselugo.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Koselugo τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Koselugo θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

### **Λοιπές πληροφορίες για το Koselugo**

Περισσότερες πληροφορίες για το Koselugo διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/koselugo](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/koselugo).