



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Koselugo (*selumetinib*)

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

Wat is Koselugo en wanneer wordt het voorgeschreven?

Koselugo is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van plexiforme neurofibromen, goedaardige (niet-cancereuze) tumoren langs de zenuwen, wanneer deze symptomen veroorzaken en niet operatief kunnen worden verwijderd bij kinderen met neurofibromatose type 1 (NF1) van 3 jaar of ouder.

NF1 is zeldzaam, en Koselugo werd op 31 juli 2018 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050.

Koselugo bevat de werkzame stof selumetinib.

Hoe wordt Koselugo gebruikt?

Koselugo is verkrijgbaar in de vorm van capsules en is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling moet worden gestart door een arts die ervaring heeft met de diagnose en behandeling van NF1-gerelateerde tumoren.

De aanbevolen dosis Koselugo is gebaseerd op het gewicht en de lengte van de patiënt. Het geneesmiddel wordt tweemaal daags, met een tussenpoos van ongeveer 12 uur, ingenomen op een lege maag. Het geneesmiddel mag niet worden gegeven aan patiënten die de capsule niet in zijn geheel kunnen doorslikken.

Voor en tijdens de behandeling met Koselugo zal de arts controleren hoe goed het hart, de ogen en de lever van de patiënt werken. De behandeling dient te worden voortgezet zolang de toestand van de patiënt verbetert of stabiel blijft en de bijwerkingen dragelijk zijn. De arts kan de dosis verlagen of de behandeling tijdelijk of blijvend stopzetten als er bepaalde bijwerkingen optreden.

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

Hoe werkt Koselugo?

De werkzame stof in Koselugo, selumetinib, blokkeert de enzymen MEK1 en MEK2 (MEK1/2) die betrokken zijn bij het stimuleren van de groei van cellen. MEK1/2 zijn overactief in NF1, waardoor

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



tumorcellen ongecontroleerd groeien. Door deze enzymen te blokkeren, helpt Koselugo de groei van de tumorcellen te vertragen.

Welke voordelen bleek Koselugo tijdens de studies te hebben?

Uit een hoofdstudie is gebleken dat Koselugo werkzaam is voor het behandelen van plexiforme neurofibromen bij kinderen met NF1 door de omvang van deze tumoren te verkleinen. In de studie nam de tumorgrootte met ten minste 20 % af bij 33 van de 50 (66 %) kinderen van 3 jaar of ouder met NF1 en plexiforme neurofibromen die niet operatief konden worden verwijderd. In de studie werd Koselugo niet met andere geneesmiddelen vergeleken.

Welke risico's houdt het gebruik van Koselugo in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Koselugo (die bij meer dan 4 op de 10 personen kunnen optreden) zijn braken, huiduitslag, verhoogde creatinefosfokinase (een enzym dat bij beschadiging van de spieren in het bloed terechtkomt) in het bloed, diarree, misselijkheid, gevallen van asthenie (zich zwak voelen), droge huid, koorts, acneïforme uitslag (een huiduitslag die op acne lijkt), hypoalbuminemie (lage concentratie albumine, een bloedewit), verhoogde aspartaataminotransferase (een enzym dat wijst op een mogelijk teken van leverproblemen) en paronychia (nagelbedinfectie).

De meest voorkomende ernstige bijwerkingen van Koselugo (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn diarree, anemie (laag aantal rode bloedcellen), koorts, verhoogde creatinefosfokinase in het bloed en verhoogd bloedcreatinine (een teken van nierproblemen).

Koselugo mag niet worden gebruikt bij patiënten met ernstige leverziekte.

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

Waarom is Koselugo geregistreerd in de EU?

Plexiforme neurofibromen kunnen misvormingen, bewegingsproblemen, pijn en zenuwproblemen veroorzaken. Voor kinderen met plexiforme neurofibromen die niet operatief kunnen worden verwijderd, zijn er geen goedgekeurde behandelopties; er is daarom een belangrijke onvervulde medische behoefte. Koselugo is werkzaam gebleken bij het verkleinen van de tumorgrootte bij kinderen van 3 jaar of ouder. Het aantal kinderen dat deelnam aan het onderzoek was klein vanwege de zeldzaamheid van de ziekte. Hoewel de gegevens over de veiligheid beperkt waren, wijzen ze erop dat de bijwerkingen van Koselugo beheersbaar zijn. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Koselugo groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Aan Koselugo is 'voorwaardelijke registratie' verleend. Dit betekent dat er meer informatie over het geneesmiddel zal volgen, die door het bedrijf moet worden verstrekt. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Koselugo?

Aangezien aan Koselugo voorwaardelijke registratie is verleend, zal het bedrijf dat het geneesmiddel in de handel brengt aanvullende informatie overleggen van twee lopende studies die tot doel hebben de voordelen en veiligheid van Koselugo bij kinderen van 3 jaar of ouder met NF1 te bevestigen. Het bedrijf zal ook een derde studie bij kinderen uitvoeren om meer informatie te verstrekken over de veiligheid van het geneesmiddel op lange termijn.

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

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

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

Overige informatie over Koselugo

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