



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Koselugo (*selumetinib*)

Sammanfattning av Koselugo och varför det är godkänt inom EU

Vad är Koselugo och vad används det för?

Koselugo är ett läkemedel som används för att behandla plexiforma neurofibrom, godartade (icke-cancerösa) tumörer längs nerverna, när de ger symtom och inte kan opereras bort hos barn från 3 års ålder med neurofibromatos typ 1 (NF1).

NF1 är sällsynt och Koselugo klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 31 juli 2018. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050.

Koselugo innehåller den aktiva substansen selumetinib.

Hur används Koselugo?

Koselugo finns som kapslar och är receptbelagt. Behandlingen ska inledas av en läkare med erfarenhet av att diagnostisera och behandla NF1-relaterade tumörer.

Den rekommenderade dosen av Koselugo baseras på patientens vikt och längd. Läkemedlet tas två gånger om dagen, med cirka 12 timmars mellanrum, på fastande mage. Läkemedlet ska inte ges till patienter som inte kan svälja kapseln hel.

Före och under behandlingen med Koselugo kommer läkaren att kontrollera hur väl patientens hjärta, ögon och lever fungerar. Behandlingen ska fortsätta så länge patientens tillstånd förbättras eller förblir stabilt och biverkningarna är tolererbara. Läkaren kan minska dosen eller tillfälligt eller permanent avbryta behandlingen om vissa biverkningar uppstår.

För mer information om hur du använder Koselugo, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Koselugo?

Den aktiva substansen i Koselugo, selumetinib, blockerar enzymer som kallas MEK1 och MEK2 (MEK1/2) och som medverkar till cellernas tillväxt. MEK1/2 är överaktiva vid NF1, vilket gör att tumörcellerna växer okontrollerat. Genom att blockera dessa enzymer hjälper Koselugo till att sakta ner tumörcellernas tillväxt.

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



Vilka fördelar med Koselugo har visats i studierna?

I en huvudstudie fann man att Koselugo är effektivt när det gäller att behandla plexiforma neurofibrom hos barn med NF1 genom att läkemedlet minskar storleken på dessa tumörer. I studien minskade tumörstorleken med minst 20 procent hos 33 av 50 (66 procent) barn från 3 års ålder med NF1 och plexiforma neurofibrom som inte kunde opereras bort. I studien jämfördes inte Koselugo med något annat läkemedel.

Vilka är riskerna med Koselugo?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Koselugo (kan förekomma hos fler än 4 av 10 användare) är kräkningar, hudutslag, förhöjt kreatinfosfokinas i blodet (ett enzym som frisätts i blodet när muskler är skadade), diarré, illamående, asteniska händelser (känsla av svaghet), torr hud, feber, akneliknande utslag, hypoalbuminemi (låga halter av albumin, ett protein i blodet), förhöjt aspartataminotransferas (ett enzym som tyder på ett möjligt tecken på leverproblem) och paronyki (nagelbäddsinfektion).

De vanligaste allvarliga biverkningarna som orsakas av Koselugo (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är diarré, anemi (lågt antal röda blodkroppar), feber, förhöjt kreatinfosfokinas i blodet och förhöjt kreatinin i blodet (ett tecken på njurproblem).

Koselugo får inte ges till patienter med allvarlig leversjukdom.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Koselugo finns i bipacksedeln.

Varför är Koselugo godkänt i EU?

Plexiforma neurofibrom kan orsaka vanställdhet, rörelsesvårigheter, smärta och nervproblem. Det finns inga godkända behandlingsalternativ för barn med plexiforma neurofibrom som inte kan opereras bort. Det finns därför ett betydande, ej tillgodosett medicinskt behov. Koselugo har visat sig vara effektivt när det gäller att minska tumörstorleken hos barn i åldern 3 år och äldre med plexiforma neurofibrom som inte kan opereras bort. Den kliniska prövningen omfattade ett litet antal barn eftersom sjukdomen är sällsynt. Även om uppgifterna om säkerhet var begränsade tyder de på att Koselugos biverkningar är hanterbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Koselugo är större än riskerna och att Koselugo kan godkännas för försäljning i EU.

Koselugo har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att det ska komma ytterligare uppgifter om detta läkemedel och att företaget är skyldigt att lämna dessa uppgifter. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Koselugo saknas för närvarande?

Eftersom Koselugo har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande" ska företaget som marknadsför Koselugo lämna ytterligare information från två pågående studier som syftar till att bekräfta Koselugos fördelar och säkerhet hos barn med NF1 i åldern 3 år och äldre. Företaget kommer också att utföra en tredje studie på barn för att tillhandahålla mer information om läkemedlets långsiktiga säkerhet.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Koselugo?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Koselugo har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Koselugo kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Koselugo utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Koselugo

Mer information om Koselugo finns på EMA:s webbplats:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/koselugo.