



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/816327/2017
EMA/H/C/003918

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Qarziba¹

dinutuximabum beta

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Qarziba. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Qarziba používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Qarziba, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Qarziba a k čemu se používá?

Qarziba je protinádorový přípravek, který se používá k léčbě neuroblastomu, nádorového onemocnění nervových buněk, u pacientů ve věku od jednoho roku.

Používá se u 2 skupin pacientů s vysoce rizikovým neuroblastomem (hrozí vysoké riziko návratu onemocnění):

- pacienti, u kterých došlo v souvislosti s předchozími typy léčby včetně transplantace krevních kmenových buněk (transplantace buněk produkujících krevní buňky) k určitému zlepšení,
- pacienti, u nichž v souvislosti s léčbou jinými protinádorovými přípravky nedošlo ke zlepšení neuroblastomu nebo se toto onemocnění vrátilo.

Pokud se onemocnění neuroblastomem po předchozí léčbě vrátilo, mělo by být před zahájením léčby přípravkem Qarziba stabilizováno (zastaveno jeho zhoršování). V některých případech, kdy předchozí léčba dostatečně neúčinkovala, se přípravek Qarziba používá společně s jiným léčivem zvaným interleukin-2 (aldesleukin).

¹ Dříve známý pod názvem Dinutuximab beta Apeiron a Dinutuximab beta EUSA.



Jelikož počet pacientů s neuroblastomem je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Qarziba byl dne 8. listopadu 2012 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Tento léčivý přípravek obsahuje léčivou látku dinutuximabum beta.

Jak se přípravek Qarziba používá?

Přípravek Qarziba se podává ve formě infuze (kapání) do žíly. Jeden cyklus léčby přípravkem se podává po dobu 5 nebo 10 dní jednou za 35 dní. Podává se celkem 5 cyklů. Doporučená dávka závisí na tělesné hmotnosti a výšce pacienta.

Pokud se objeví určité nežádoucí účinky, může lékař dávku přípravku snížit nebo podání dávek odložit. Pokud jsou tyto nežádoucí účinky závažné, může lékař léčbu ukončit.

Léčba přípravkem Qarziba by neměla být zahájena, pokud pacient nemá uspokojivé výsledky některých krevních testů na funkci jater, plic, ledvin a kostní dřeně.

Léčba přípravkem Qarziba musí probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou nádorových onemocnění. Léčbu musí podávat lékař nebo zdravotní sestra, kteří jsou připraveni na zvládnutí závažných alergických reakcí, a to v nemocnici, kde jsou v případě potřeby okamžitě dostupné veškeré resuscitační služby. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Podrobné informace jsou uvedeny v souhrnu údajů o přípravku (rovněž součástí zprávy EPAR).

Jak přípravek Qarziba působí?

Přípravek Qarziba je monoklonální protilátka (typ bílkoviny), která byla navržena tak, aby rozpoznala a navázala se na strukturu zvanou GD2, která je ve velkém množství přítomna na povrchu buněk neuroblastomu, ale nikoliv na normálních buňkách.

Pokud se přípravek Qarziba naváže na buňky neuroblastomu, učiní z nich cíl pro imunitní systém těla (přirozenou obranyschopnost těla), který pak nádorové buňky zahubí.

Jaké přínosy přípravku Qarziba byly prokázány v průběhu studií?

Studie prokázaly, že přípravek Qarziba je účinný v rámci prodloužení přežití u pacientů s neuroblastomem.

Ve dvou studiích byly analyzovány údaje od 88 dětí a dospělých s neuroblastomem, u kterých při léčbě jinými typy protinádorové léčby nedošlo ke zlepšení nebo se onemocnění vrátilo. Pacienti byli léčeni přípravkem Qarziba v kombinaci s interleukinem-2 a dalším léčivem zvaným isotretinoin. V těchto studiích ještě 2 roky po léčbě přežívalo 70 % a 78 % pacientů, jejichž neuroblastom se při použití jiných typů léčby nezlepšil. Z pacientů s neuroblastomem, u kterých došlo k návratu onemocnění, přežívalo ještě 2 roky po léčbě 42 % a 69 % osob.

Ve třetí studii u 370 dětí s vysoce rizikovým neuroblastomem, který se zlepšil po použití jiných typů léčby, byl podáván přípravek Qarziba a isotretinoin společně s interleukinem-2 nebo bez něj. Na počátku léčby někteří z těchto pacientů nevykazovali žádné známky neuroblastomu a někteří ještě vykazovali určité známky onemocnění. Z pacientů, kteří nevykazovali žádné známky neuroblastomu, jich ještě 3 roky po léčbě přežívalo 71 % a výsledky byly srovnatelné neohledě na to, zda léčba zahrnovala interleukin-2, nebo nikoliv. U pacientů, kteří vykazovali určité známky neuroblastomu, ještě 3 roky po

léčbě přežívalo 63 % pacientů, kterým byl podáván interleukin-2, a 54 % pacientů, kteří interleukin-2 neužívali.

V těchto studiích byly výsledky použití přípravku Qarziba příznivější než dřívější výsledky u pacientů, jejichž onemocnění nebylo léčeno přípravkem Qarziba.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Qarziba?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Qarziba (které mohou postihnout více než 7 osob z 10) jsou pyrexie (horečka) a bolest. Mezi další nežádoucí účinky (které mohou postihnout více než 3 osoby z 10) patří přecitlivělost (alergie), zvracení, průjem, syndrom zvýšené propustnosti kapilár (únik tekutiny z krevních cév, který může způsobit otoky a pokles krevního tlaku) a hypotenze (nízký krevní tlak).

Přípravek Qarziba se nesmí používat u pacientů se závažnou nebo rozsáhlou reakcí štěpu proti hostiteli (stav, kdy transplantované buňky napadají tělo).

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení hlášených v souvislosti s přípravkem Qarziba je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Qarziba schválen?

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury poukázal na nedostatek léčebných možností k zabránění návratu vysoce rizikového neuroblastomu.

Údaje o výsledcích přípravku Qarziba celkově prokazují účinnost přípravku. Pro úplné pochopení účinnosti přípravku je však zapotřebí více údajů.

Přestože léčba přípravkem Qarziba může způsobit závažné nežádoucí účinky, považuje se bezpečnost tohoto léčivého přípravku za přijatelnou.

Výbor CHMP proto rozhodl, že přínosy přípravku Qarziba převyšují jeho rizika, a doporučil, aby byl schválen k použití v EU.

Přípravek Qarziba byl registrován za „výjimečných okolností“, neboť z etických důvodů nebylo možné o přípravku Qarziba získat úplné informace. Vzhledem k tomu, že dinutuximabum je doporučenou léčbou u vysoce rizikového neuroblastomu, nebylo by etické provádět studii, ve které by některým pacientům bylo podáváno placebo (léčba neúčinným přípravkem). Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento souhrn bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Qarziba nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Qarziba byl schválen za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Qarziba dodává na trh, bude sledovat jeho bezpečnost pomocí registru pacientů a každoročně předloží aktualizace. Společnost také provede testy s cílem získat více informací o tom, jak je přípravek v těle zpracováván a jak imunitní systém na léčivý přípravek reaguje. Společnost předloží výsledky studie zkoumající účinek podání přípravku Qarziba společně s interleukinem-2. Kromě toho společnost předloží zprávu o míře pětiletého přežití u pacientů, kteří byli zařazeni do těchto studií.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Qarziba?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Qarziba, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Qarziba

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Dinutuximab beta Apeiron platné v celé Evropské unii dne 8. května 2017. Název tohoto léčivého přípravku se dne 4. srpna 2017 změnil na Dinutuximab beta EUSA a dne 27. listopadu 2017 na Qarziba.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Qarziba je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Qarziba naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Qarziba vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 12-2017.