



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

## EPAR - sammendrag for offentligheden

---

### Qarziba<sup>1</sup>

#### dinutuximab beta

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Qarziba. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Qarziba bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Qarziba, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

### Hvad er Qarziba, og hvad anvendes det til?

Qarziba er et lægemiddel til behandling af en type kræft, der hedder neuroblastom, og som rammer nerveceller hos patienter over 1 år.

Det anvendes hos to grupper af patienter, der har højrisiko-neuroblastom (dvs. de har en høj risiko for, at kræften vender tilbage):

- patienter, som har oplevet en vis bedring med tidligere behandlinger, der omfattede transplantation af blodstamceller (transplantation af bloddannende celler)
- patienter, der ikke har fået det bedre med andre kræftbehandlinger, eller hvis neuroblastom er vendt tilbage.

Hvis neuroblastomet er vendt tilbage efter tidligere behandling, bør det stabiliseres (forhindres i at blive værre), før behandling med Qarziba påbegyndes. Qarziba anvendes sammen med et andet lægemiddel, der hedder interleukin-2, (aldesleukin) i tilfælde, hvor tidligere behandling ikke har virket godt nok.

---

<sup>1</sup> Tidligere kendt som Dinutuximab beta Apeiron og Dinutuximab beta EUSA.



Da antallet af patienter med neuroblastom er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Qarziba blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 8. november 2012.

Lægemidlet indeholder det aktive stof dinutuximab beta.

## Hvordan anvendes Qarziba?

Qarziba gives som infusionsvæske (drop) i en vene. Behandling med lægemidlet gives i forløb a 5-10 dage hver 35. dag. Der gives i alt 5 behandlingsforløb. Den anbefalede dosis afhænger af patientens vægt og højde.

Lægen kan være nødt til at reducere eller udsætte doserne, hvis der opstår visse bivirkninger, eller helt standse behandlingen, hvis bivirkningerne er alvorlige.

Behandling med Qarziba bør ikke påbegyndes, hvis visse blodprøver af patientens lever-, lunge-, nyre- og knoglemarvsfunktion ikke er tilfredsstillende.

Behandlingen med Qarziba skal overvåges af en læge med erfaring i at behandle kræft. Behandlingen skal gives på et hospital af en læge eller sygeplejerske, der kan behandle alvorlige allergiske reaktioner, og som har adgang til livreddende hjælp, hvis det skulle blive nødvendigt. Lægemidlet udleveres kun efter recept.

De nærmere oplysninger fremgår af produktresuméet (også en del af denne EPAR).

## Hvordan virker Qarziba?

Qarziba er et monoklonalt antistof (en type protein), der er designet til at genkende og binde til en struktur, der hedder GD2, som findes i store mængder på overfladen af neuroblastomceller, men ikke normale celler.

Når Qarziba binder sig til neuroblastomcellerne, gør det dem til et mål for kroppens immunsystem (kroppens naturlige forsvar), som så slår kræftcellerne ihjel.

## Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Qarziba?

Undersøgelser har vist, at Qarziba øger overlevelsen hos patienter med neuroblastom.

To undersøgelser analyserede data fra 88 børn og voksne med neuroblastom, som ikke havde fået det bedre med andre kræftbehandlinger, eller hvis neuroblastom var vendt tilbage. Patienterne blev behandlet med Qarziba og interleukin-2 samt et tredje lægemiddel, isotretinoin. I disse undersøgelser var 70 % og 78 % af de patienter, hvis neuroblastom ikke var blevet bedre med andre behandlinger, stadig i live 2 år efter behandlingen. Blandt de patienter, hvis neuroblastom var vendt tilbage, var 42 % og 69 % stadig i live 2 år efter behandling.

I en tredje undersøgelse fik 370 børn med højrisiko-neuroblastom, der havde oplevet bedring efter andre behandlinger, Qarziba og isotretinoin med eller uden interleukin-2. I starten af behandlingen havde nogle af disse patienter ingen tegn på neuroblastom, mens andre stadig havde tegn på sygdommen. Blandt de patienter, der ikke havde nogen tegn på neuroblastom, var 71 % stadig i live 3 år efter behandling, og resultaterne var ens, uanset om behandlingen omfattede interleukin-2 eller ej. Blandt de patienter, der havde tegn på neuroblastom, var 63 % af dem, som fik interleukin-2, stadig i live 3 år efter behandling sammenholdt med 54 % af dem, der ikke fik interleukin-2.

I disse undersøgelser var resultaterne af behandling med Qarziba bedre end resultaterne blandt patienter behandlet for neuroblastom uden Qarziba.

## Hvilken risiko er der forbundet med Qarziba?

De hyppigste bivirkninger ved Qarziba (som kan forekomme hos mere end 7 ud af 10 personer) er feber og smerter. Andre bivirkninger (der kan forekomme hos mere end 3 ud af 10 personer) er allergi, opkastning, diarré, vaskulær lækage-syndrom (udsvivning af væske fra blodkar, der kan forårsage hævelse og et fald i blodtrykket) og lavt blodtryk.

Qarziba må ikke anvendes hos patienter med alvorlig eller udbredt *Graft-versus-Host*-sygdom (en tilstand, hvor transplanterede celler angriber kroppen).

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

## Hvorfor blev Qarziba godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konstaterede, at der manglede behandlingsmuligheder til at forhindre højrisiko-neuroblastom i at vende tilbage.

Samlet set viser data for resultaterne af undersøgelserne af Qarziba, at lægemidlet virker. Der er dog behov for flere data for fuldt ud at forstå lægemidlets virkning.

Selvom behandling med Qarziba kan medføre alvorlige bivirkninger, vurderes sikkerheden ved lægemidlet at være acceptabel.

CHMP konkluderede derfor, at fordelene ved Qarziba overstiger risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse til anvendelse i EU.

Qarziba er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det af etiske hensyn ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Qarziba. Da dinutuximab er en anbefalet behandling for højrisiko-neuroblastom, vil det ikke være etisk forsvarligt at gennemføre et forsøg, hvor nogle patienter får placebo (et uvirksomt stof). Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

## Hvilke oplysninger afventes der stadig for Qarziba?

Da Qarziba er godkendt under særlige omstændigheder, skal den virksomhed, der markedsfører Qarziba, overvåge sikkerheden ved Qarziba gennem et patientregister og fremlægge årlige opdateringer. Virksomheden vil også gennemføre undersøgelser for at fremskaffe flere oplysninger om, hvordan kroppen behandler lægemidlet, og hvordan immunsystemet reagerer på lægemidlet. Virksomheden vil fremlægge resultaterne af en undersøgelse af virkningen af at give Qarziba sammen med interleukin-2. Derudover vil virksomheden indberette 5 års-overlevelseshæfter for de patienter, der har deltaget i undersøgelserne.

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

I produktresuméet og indlægssedlen er der indføjede anbefalinger og forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge med henblik på sikker og effektiv anvendelse af Qarziba.

## Andre oplysninger om Qarziba

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Dinutuximab beta Apeiron den 8. maj 2017. Lægemidlets navn blev ændret til Dinutuximab beta EUSA den 4. august 2017 og til Qarziba den 27. november 2017.

Den fuldstændige EPAR for Qarziba findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Qarziba, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Qarziba findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Denne oversigt blev sidst ajourført i 12-2017.