



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Qarziba¹

dinutuximab béta

Ez a dokumentum a Qarziba-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Qarziba alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Qarziba alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Qarziba és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Qarziba egy daganatellenes gyógyszer, amelyet a neuroblasztóma, az idegsejtek egy daganatának kezelésére alkalmaznak 1 évesnél idősebb betegeknél.

Két olyan betegcsoportban alkalmazzák, akik magas kockázatú neuroblasztómában szenvednek (amely esetében nagy a kiújulás esélye):

- olyan betegeknél, akik a korábbi, vér-őssejt transzplantációt (vérszűrés) is magukban foglaló kezelésekre hatására némi javulást mutattak;
- olyan betegeknél, akiknél a neuroblasztóma az egyéb daganatellenes kezelésekre nem javult, illetve kiújult.

Amennyiben a neuroblasztóma a korábbi kezelés után kiújult, a betegséget stabilizálni kell (megakadályozni a súlyosbodását), mielőtt a Qarziba kezelés megkezdődne. Egyes esetekben a

¹ Korábbi nevén Dinutuximab beta Apeiron, illetve Dinutuximab beta EUSA.



Qarziba-t egy másik, úgynevezett interleukin-2 (aldesleukin) nevű gyógyszerrel együtt alkalmazzák, ha a korábbi kezelés hatása nem volt elégséges.

Mivel a neuroblasztómában szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Qarziba-t 2012. november 8-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A gyógyszer hatóanyaga a dinutuximab béta.

Hogyan kell alkalmazni a Qarziba-t?

A Qarziba-t vénás infúzió formájában adják be. Minden kezelési ciklusban 35 naponként 5 vagy 10 napig alkalmazzák a gyógyszert. Összesen 5 ciklust kell beadni. A javasolt adag a beteg testtömegétől és testmagasságától függ.

Az orvos bizonyos mellékhatások jelentkezése esetén csökkentheti az adagot, elhalaszthatja az adagok beadását, illetve teljesen leállíthatja a kezelést, ha a mellékhatások súlyosnak bizonyulnak.

A Qarziba kezelés kizárólag akkor kezdhető meg, ha a beteg bizonyos vérvizsgálati eredményei a máj-, tüdő-, vese- és csontvelőfunkció tekintetében kielégítőek.

A Qarziba kezelést a daganatellenes terápia alkalmazásában jártas orvosnak kell felügyelnie. Beadását kórházban, olyan orvosnak vagy ápolónak kell végeznie, aki képes kezelni a súlyos allergiás reakciókat, illetve akinek szükség esetén a teljes körű újraélesztési egység azonnal rendelkezésére áll. A gyógyszer csak receptre kapható.

További információ a (szintén az EPAR részét képező) alkalmazási előírásban található.

Hogyan fejti ki hatását a Qarziba?

A Qarziba egy monoklonális antitest (egy fehérjetípus), amelyet úgy alakítottak ki, hogy felismerjen egy GD2 elnevezésű anyagot, és kötődjön ahhoz. Ez nagy mennyiségben van jelen a neuroblasztóma sejtek felszínén, de nem található meg a normális sejteken.

Amikor a Qarziba a neuroblasztóma sejtekhez kötődik, azok célpontjává válnak a szervezet immunrendszerének (a test természetes védekezőrendszere), amely végül elpusztítja a daganatsejteket.

Milyen előnyei voltak a Qarziba alkalmazásának a vizsgálatok során?

A vizsgálatok igazolták, hogy neuroblasztómában szenvedő betegeknél a Qarziba hatásos a túlélés meghosszabbításában.

Két vizsgálatban 88, neuroblasztómában szenvedő gyermek és felnőtt adatait elemezték, akiknek a betegsége más daganatellenes kezelésekre nem javult vagy kiújult. A betegeket Qarziba-val és interleukin-2-vel, valamint egy másik, izotretinoin nevű gyógyszerrel kezelték. Ezekben a vizsgálatokban az egyéb kezelésekre nem javuló neuroblasztómában szenvedő betegek 70%-a, illetve 78%-a még életben volt a kezelés után 2 évvel. A kiújult neuroblasztómában szenvedő betegek közül 42%, illetve 69% volt még életben a kezelés után 2 évvel.

Egy harmadik vizsgálatban 370, magas kockázatú, más kezelésekre javuló neuroblasztómában szenvedő gyermeket kezeltek Qarziba -val és izotretinoinnal, valamint interleukin-2-vel vagy anélkül. A kezelés kezdetén egyes betegeknél nem volt jele a neuroblasztómának, míg másoknál még voltak bizonyos jelei a betegségnek. Azon betegek közül, akiknél nem volt jele a neuroblasztómának, 71% volt még életben a kezelés után 3 évvel, és az eredmények hasonlóak voltak függetlenül attól, hogy a

kezelés tartalmazott-e interleukin-2-t vagy sem. Azon betegek közül, akiknél voltak bizonyos jelei a neuroblasztómának, az interleukin-2-vel kezelték 63%-a volt életben a kezelés után 3 évvel, míg az interleukin-2-t nem kapó betegeknél ez az arány 54% volt.

Ezekben a vizsgálatokban a Qarziba alkalmazásával kapcsolatos eredmények kedvezően viszonyultak a neuroblasztóma miatt Qarziba nélkül kezelt betegeknél korábban megfigyeltékhez.

Milyen kockázatokkal jár a Qarziba alkalmazása?

A Qarziba leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint hétnél jelentkezhetnek) a láz és a fájdalom. Egyéb mellékhatások (10 beteg közül több mint háromnál jelentkezhetnek) a túlérzékenység (allergia), hányás, hasmenés, kapilláris szivárgás szindróma (folyadékszivárgás a vérerekből, ami duzzanatot és vérnyomásesést okozhat), valamint hipotenzió (alacsony vérnyomás).

A Qarziba nem alkalmazható súlyos vagy kiterjedt *graft-versus-host* betegség (amikor a transzplantált sejtek megtámadják a szervezetet) esetén.

A Qarziba alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Qarziba forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megjegyezte a magas kockázatú neuroblasztóma kiújulásának megelőzésére szolgáló terápiás lehetőségek hiányát.

Összességében a Qarziba alkalmazásával kapcsolatos eredményekre vonatkozó adatok azt igazolták, hogy a gyógyszer hatásos. Azonban további adatokra van szükség a gyógyszer hatásosságának teljes körű megértéséhez.

Bár a Qarziba kezelés súlyos mellékhatásokat okozhat, a gyógyszer biztonságossága elfogadható.

A CHMP ezért megállapította, hogy a Qarziba alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

A Qarziba-t „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy etikai okokból nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Qarziba-ról. Mivel a dinutuximab egy javasolt kezelés a magas kockázatú neuroblasztóma esetén, nem lenne etikus olyan vizsgálatot végezni, amelyben egyes betegek placebót (hatóanyag nélküli kezelés) kapnak. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

Milyen információk várhatók még a Qarziba-val kapcsolatban?

Mivel a Qarziba forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, a Qarziba-t forgalmazó vállalat egy betegregiszter révén ellenőrizni fogja a gyógyszer biztonságosságát, és évente frissített jelentéseket fog benyújtani. A vállalat tesztek is fog végezni, hogy több információt szerezzen arról, hogy a szervezet hogyan dolgozza fel a gyógyszert, és hogyan reagál az immunrendszer a gyógyszerre. A vállalat be fogja nyújtani egy vizsgálat eredményeit, amelyben az interleukin-2-vel együtt adott Qarziba hatását tanulmányozták. Ezenfelül a vállalat beszámol a vizsgálatokban részt vett betegek 5 éves túléléséről.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Qarziba biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Qarziba biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Qarziba-val kapcsolatos egyéb információ

2017. május 8-án az Európai Bizottság a Dinutuximab beta Apeiron-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt. A termék nevét 2017. augusztus 4-én Dinutuximab beta EUSA-ra, 2017. november 27-én pedig Qarziba-ra módosították.

A Qarziba-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Qarziba-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Qarziba-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 07-2018.