



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Qarziba¹

dinutuksymab beta

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Qarziba. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania produktu Qarziba.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Qarziba należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Qarziba i w jakim celu się go stosuje?

Qarziba jest lekiem przeciwnowotworowym przeznaczonym do leczenia nerwiaka zarodkowego, raka komórek nerwowych, u pacjentów powyżej 1 roku życia.

Jest stosowany w 2 grupach pacjentów z nerwiakiem zarodkowym wysokiego ryzyka (o dużym prawdopodobieństwie nawrotu):

- pacjenci, którzy uzyskali pewną poprawę po wcześniejszym leczeniu, obejmującym przeszczepienie komórek macierzystych z krwi (przeszczepienie komórek produkujących krew);
- pacjenci, u których nie nastąpiła poprawa po zastosowaniu innych terapii przeciwnowotworowych lub nastąpił nawrót nerwiaka zarodkowego.

W przypadku nawrotu nerwiaka zarodkowego po wcześniejszym leczeniu należy go ustabilizować (powstrzymać jego postęp) przed rozpoczęciem leczenia produktem Qarziba. W niektórych przypadkach, gdy wcześniejsze terapie nie działały wystarczająco dobrze, Qarziba jest stosowany wraz z innym lekiem o nazwie interleukina-2 (aldesleukina).

¹ Produkt znany wcześniej pod nazwą Dinutuximab beta Apeiron i Dinutuximab beta EUSA.



Ze względu na małą liczbę pacjentów z nerwiakiem zarodkowym choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 8 listopada 2012 r. produkt Qarziba uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Lek zawiera substancję czynną dinutuksymab beta.

Jak stosować produkt Qarziba?

Qarziba podaje się w postaci wlewu dożylnego (kroplówki). Każdy cykl leczenia jest podawany przez 5 lub 10 dni co 35 dni. Lek jest podawany łącznie w 5 cyklach. Zalecana dawka jest uzależniona od wzrostu i masy ciała pacjenta.

Lekarz może zmniejszyć dawkowanie lub opóźnić podawanie dawek w przypadku wystąpienia pewnych działań niepożądanych lub w ogóle zaprzestać leczenia, jeśli działania niepożądane są ciężkie.

Leczenia produktem Qarziba nie należy rozpoczynać, jeżeli pacjent nie ma zadowalających wyników badań krwi związanych z czynnością wątroby, płuc, nerek i szpiku kostnego.

Leczenie musi być nadzorowane przez lekarza mającego doświadczenie w leczeniu raka. Lek musi być podawany w szpitalu przez lekarza lub pielęgniarkę przygotowanych do reagowania na ciężkie reakcje alergiczne, którzy w razie potrzeby mają natychmiastowy, pełny dostęp do środków resuscytacji. Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Więcej informacji znajduje się w charakterystyce produktu leczniczego (także część EPAR).

Jak działa produkt Qarziba?

Qarziba jest przeciwciałem monoklonalnym (typ białka), które zostało zaprojektowane w taki sposób, aby rozpoznawało strukturę określaną jako GD2, występująca w dużych ilościach na powierzchni komórek nerwiaka zarodkowego, ale nie na powierzchni prawidłowych komórek, i przyłączało się do niej.

Po przyłączeniu się leku Qarziba do komórek nerwiaka zarodkowego stają się one celem dla układu odpornościowego organizmu (naturalnych sił obronnych organizmu), który następnie zabija komórki nowotworowe.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Qarziba zaobserwowano w badaniach?

Badania wykazały, że produkt Qarziba skutecznie wydłuża przeżycie u pacjentów z nerwiakiem zarodkowym.

W dwóch badaniach analizowano dane pochodzące od 88 dzieci i dorosłych z nerwiakiem zarodkowym, którzy nie uzyskali poprawy po zastosowaniu innych leków przeciwnowotworowych lub u których nastąpił nawrót choroby. Pacjentów leczono produktem Qarziba z interleukiną-2 i innym lekiem o nazwie izotretynoina. W tych badaniach 70% i 78% pacjentów, u których nie uzyskano poprawy nerwiaka zarodkowego po zastosowaniu innych terapii, wciąż żyło 2 lata po leczeniu. Wśród pacjentów, u których nastąpił nawrót nerwiaka zarodkowego, 42% i 69% pacjentów wciąż żyło 2 lata po leczeniu.

W trzecim badaniu 370 dzieciom z nerwiakiem zarodkowym wysokiego ryzyka, u których uzyskano poprawę po zastosowaniu innych terapii, podawano Qarziba i izotretynoinę z interleukiną-2 lub bez. Na początku leczenia u niektórych z tych pacjentów nie występowały objawy nerwiaka zarodkowego, a u niektórych wciąż występowały pewne objawy. Wśród pacjentów, u których nie występowały objawy nerwiaka zarodkowego, 71% wciąż żyło 3 lata po leczeniu, a wyniki były podobne niezależnie od tego, czy leczenie obejmowało interleukinę-2, czy nie. Wśród pacjentów, u których występowały pewne objawy

nerwiaka zarodkowego, 63% osób otrzymujących interleukinę-2 wciąż żyło 3 lata po leczeniu w porównaniu z 54% pacjentów, którzy nie otrzymywali interleukiny-2.

W tych badaniach efekty leczenia produktem Qarziba prezentowały się korzystnie w porównaniu z wynikami obserwowanymi wcześniej u pacjentów leczonych w związku z nerwiakiem zarodkowym bez produktu Qarziba.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Qarziba?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Qarziba (mogące wystąpić u więcej niż 7 osób na 10) to gorączka i ból. Inne działania niepożądane (które mogą występować u więcej niż 3 na 10 osób) to nadwrażliwość (alergia), wymioty, biegunka, zespół przesiąkania włóściczek (przesiákanie płynu z naczyń krwionośnych, które powoduje obrzęk i obniżenie ciśnienia krwi) oraz niedociśnienie (niskie ciśnienie krwi).

Produktu Qarziba nie wolno stosować u pacjentów z ciężką lub rozległą chorobą przeszczep przeciw gospodarzowi (kiedy przeszczepione komórki atakują organizm).

Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Qarziba znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Qarziba?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji odnotował brak możliwości leczenia w celu zapobiegania nawrotowi nerwiaka zarodkowego wysokiego ryzyka.

Zgromadzone dane dotyczące efektów leczenia produktem Qarziba wskazują, że lek jest skuteczny. Do pełnego zrozumienia skuteczności leku koniecznych jest jednak więcej danych.

Pomimo że leczenie produktem Qarziba może powodować poważne działania niepożądane, bezpieczeństwo leku uznaje się za akceptowalne.

W związku z tym CHMP zdecydował, że korzyści płynące ze stosowania produktu Qarziba przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE.

Lek Qarziba dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o produkcie Qarziba ze względów etycznych. Z uwagi na to, że dinutuksymab jest zalecanym lekiem przeciw nerwiakowi zarodkowemu wysokiego ryzyka, byłoby nieetyczne prowadzenie badania, w którym część pacjentów otrzymuje placebo (lek pozorowany). Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze sprawozdanie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Qarziba?

W związku z tym, że produkt Qarziba został dopuszczony do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca produkt Qarziba do obrotu będzie monitorować bezpieczeństwo stosowania produktu na podstawie rejestru pacjentów i dostarczać coroczne aktualizacje. Firma przeprowadzi także badania w celu uzyskania dodatkowych informacji na temat przetwarzania leku przez organizm i reakcji układu odpornościowego na lek. Firma przekaże wyniki badania dotyczącego wpływu podawania produktu Qarziba wraz z interleukiną-2. Ponadto firma przekaże informacje na temat 5-letnich wskaźników przeżycia pacjentów uczestniczących w badaniach.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Qarziba?

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Qarziba w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Qarziba

W dniu 8 maja 2017 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Dinutuximab beta Apeiron do obrotu, ważne w całej Unii Europejskiej. Nazwę produktu zmieniono na Dinutuximab beta EUSA w dniu 4 sierpnia 2017 r., a na Qarziba w dniu 27 listopada 2017 r.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Qarziba znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Qarziba należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Qarziba znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Data ostatniej aktualizacji: 12.2017.