



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sammanfattning av EPAR för allmänheten

---

### Qarziba<sup>1</sup> dinutuximab beta

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Qarziba. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Qarziba ska användas.

Praktisk information om hur Qarziba ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

### Vad är Qarziba och vad används det för?

Qarziba är ett cancerläkemedel som används för att behandla neuroblastom, en cancer i nervcellerna, hos patienter över 1 års ålder.

Det ges till två grupper av patienter med högriskneuroblastom (som har en hög risk att komma tillbaka):

- Patienter som har haft en viss förbättring med tidigare behandlingar, som innefattade blodstamcellstransplantation (en transplantation av blodproducerande celler),
- Patienter vars neuroblastom inte har förbättrats med andra cancerbehandlingar eller som har kommit tillbaka.

Om neuroblastomet har kommit tillbaka efter tidigare behandling bör det stabiliseras (hindras från att förvärras) innan behandling med Qarziba påbörjas. Qarziba används tillsammans med annat läkemedel som heter interleukin-2 (aldesleukin) i vissa fall där tidigare behandlingar inte har fungerat tillräckligt bra.

---

<sup>[1]</sup> Kallades tidigare Dinutuximab beta Apeiron och Dinutuximab beta EUSA.



Eftersom antalet patienter med neuroblastom är litet betraktas sjukdomen som "sällsynt" och Qarziba klassificerades som "säriläkemedel" (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 8 november 2012.

Läkemedlet innehåller den aktiva substansen dinutuximab beta.

## Hur används Qarziba?

Qarziba ges som infusion (dropp) i en ven. Varje behandling med läkemedlet ges i 5 eller 10 dagar var 35:e dag. Det ges som totalt 5 behandlingar. Den rekommenderade dosen beror på patientens kroppsvikt och längd.

Läkaren kan behöva minska eller senarelägga doser om vissa biverkningar uppstår, eller helt avbryta behandlingen om biverkningarna är svåra.

Behandling med Qarziba bör inte påbörjas om patienten inte har tillfredsställande resultat i vissa blodtester av lever-, lung-, njur- och benmärgsfunktion.

Behandling med Qarziba måste övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla cancer. Det måste ges på sjukhus av en läkare eller sjuksköterska som kan hantera svåra allergiska reaktioner och som har fullständiga återupplivningsmöjligheter tillgängliga om det behövs. Läkemedlet är receptbelagt.

Mer information finns i produktresumén (ingår också i EPAR).

## Hur verkar Qarziba?

Qarziba är en monoklonal antikropp (en typ av protein) som har utformats för att känna igen och fästa till en struktur som kallas GD2 som finns i stora mängder på ytan av neuroblastomceller, men inte i normala celler.

När Qarziba fäster till neuroblastomceller, gör det dem till ett mål för kroppens immunsystem (kroppens naturliga försvar), som därefter dödar cancercellerna.

## Vilken nytta med Qarziba har visats i studierna?

Studier har visat att Qarziba är effektivt när det gäller att öka överlevnaden hos patienter med neuroblastom.

I två studier analyserades data från 88 barn och vuxna med neuroblastom som inte hade förbättrats med andra cancerbehandlingar eller som hade kommit tillbaka. Patienterna behandlades med Qarziba samt interleukin-2 och ett annat läkemedel som kallas isotretinoin. I dessa studier var 70 procent och 78 procent av patienterna vars neuroblastom inte hade förbättrats med andra behandlingar fortfarande i livet 2 år efter behandlingen. Av de patienter med neuroblastom som kommit tillbaka var 42 procent och 69 procent fortfarande i livet 2 år efter behandlingen.

I en tredje studie på 370 barn med högriskneuroblastom som hade förbättrats efter andra behandlingar fick patienterna Qarziba och isotretinoin med eller utan interleukin-2. I början av behandlingen hade vissa av dessa patienter inga tecken på neuroblastom och några hade fortfarande vissa tecken på sjukdomen. Av patienterna som inte hade något tecken på neuroblastom var 71 procent fortfarande i livet 3 år efter behandlingen och resultaten var liknande oavsett om behandlingen inkluderade interleukin-2 eller inte. Av de patienter som hade vissa tecken på neuroblastom var 63 procent av dem som fick interleukin-2 fortfarande i livet 3 år efter behandlingen jämfört med 54 procent av patienterna som inte fick interleukin-2.

I dessa studier var resultaten med Qarziba gynnsamma jämfört med dem som tidigare setts hos patienter som behandlats för neuroblastom utan Qarziba.

## **Vilka är riskerna med Qarziba?**

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Qarziba (kan drabba fler än 7 av 10 personer) är pyrexia (feber) och smärta. Andra biverkningar (kan drabba fler än 3 av 10 personer) är hyperkänslighet (allergi), kräkningar, diarré, kapillärläckagesyndrom (läckage av vätska från blodådror som kan orsaka svullnad och blodtrycksfall) och hypotension (lågt blodtryck).

Qarziba får inte ges till patienter med svår eller spridd graft-versus-host-sjukdom (när transplanterade celler angriper kroppen).

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

## **Varför godkänns Qarziba?**

Myndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) noterade bristen på behandlingsalternativ för att förhindra att högriskneuroblastom kommer tillbaka.

Sammantaget visar data över resultat med Qarziba att läkemedlet är verksamt. Men ytterligare data behövs för att helt förstå läkemedlets verkan.

Även om behandling med Qarziba kan orsaka allvarliga biverkningar anses läkemedlets säkerhet vara godtagbar.

CHMP fann därför att nyttan med Qarziba är större än riskerna och rekommenderade att Qarziba skulle godkännas för försäljning i EU.

Qarziba har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte har varit möjligt att få fullständig information om Qarziba av etiska skäl. Eftersom dinutuximab är en rekommenderad behandling för högriskneuroblastom skulle det inte vara etiskt att genomföra ett försök där vissa patienter fick placebo (overksam behandling). Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

## **Vilken information om Qarziba saknas för närvarande?**

Eftersom Qarziba har godkänts i enlighet med reglerna om godkännande i undantagsfall kommer företaget som marknadsför Qarziba att övervaka säkerheten med Qarziba från ett patientregister och tillhandahålla årliga uppdateringar. Företaget kommer också att genomföra tester för att få mer information om hur läkemedlet tas upp av kroppen och hur immunsystemet svarar på läkemedlet. Resultaten av en studie där man tittar på effekten av att ge Qarziba tillsammans med interleukin-2 kommer att tillhandahållas av företaget. Därutöver kommer företaget att redogöra för femårsöverlevnadssiffrorna för patienterna som deltog i studierna.

## **Vad görs för att garantera säker och effektiv användning Qarziba?**

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

## Mer information om Qarziba

Den 8 maj 2017 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Dinutuximab beta Apeiron som gäller i hela EU. Produktens namn ändrades till Dinutuximab beta EUSA den 4 augusti 2017 och till Qarziba den 27 november 2017.

EPAR för Qarziba finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Mer information om behandling med Qarziba finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Qarziba från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 12-2017.