



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/613753/2022  
EMA/H/C/005605

## Scemblix (*asciminib*)

Przegląd wiedzy na temat leku Scemblix i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Czym jest lek Scemblix i w jakim celu się go stosuje

Semblix jest lekiem przeciwnowotworowym. Lek stosuje się w leczeniu przewlekłej białaczki szpikowej (ang. *chronic myeloid leukaemia*, CML), nowotworu białych krwinek, w fazie przewlekłej (kiedy choroba rozwija się powoli, a u pacjenta występuje niewiele objawów lub nie występują one wcale). Lek może być stosowany u dorosłych pacjentów, u których rak zawiera dodatni chromosom Philadelphia (Ph+). Ph+ oznacza, że dwa z chromosomów pacjenta zmieniły swój układ i utworzyły specjalny chromosom zwany chromosomem Philadelphia. Chromosom ten wytwarza enzym, kinazę BCR::ABL1, który prowadzi do rozwoju białaczki.

Lek Semblix stosuje się u pacjentów, którzy byli już leczeni co najmniej dwoma lekami przeciwnowotworowymi zwanymi inhibitorów kinazy tyrozynowej.

Ze względu na to, że przewlekłą białaczkę szpikową uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 24 marca 2020 r. lek Scemblix uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć tutaj:

[https://www.ema.europa.eu/documents/orphan-designation/eu/3/20/2261-public-summary-opinion-orphan-designation-asciminib-treatment-chronic-myeloid-leukaemia\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/documents/orphan-designation/eu/3/20/2261-public-summary-opinion-orphan-designation-asciminib-treatment-chronic-myeloid-leukaemia_en.pdf)

Substancją czynną zawartą w leku Semblix jest asciminib.

### Jak stosować lek Scemblix

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno być rozpoczynane przez lekarza doświadczonego w rozpoznawaniu i leczeniu pacjentów z białaczką.

Lek jest dostępny w postaci tabletek do przyjmowania doustnego dwa razy na dobę. W przypadku wystąpienia pewnych działań niepożądanych lekarz może przerwać leczenie i zmniejszyć dawkę. Leczenie można przerwać, jeżeli pacjent nie toleruje leczenia zmniejszoną dawką.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Scemblix znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.



## Jak działa lek Scemblix

Substancja czynna leku Scemblix, asciminib, jest inhibitorem kinazy tyrozynowej (TKI), co oznacza, że blokuje enzymy znane jako kinazy tyrozynowe. W przypadku CML Ph+ organizm wytwarza dużą liczbę nieprawidłowych białych krwinek. Lek Scemblix blokuje w szczególności działanie kinazy tyrozynowej BCR::ABL1 wytwarzanej przez te komórki, co hamuje ich podział i wzrost.

## Korzyści ze stosowania leku Scemblix wykazane w badaniach

Korzyści ze stosowania leku Scemblix oceniano w badaniu głównym z udziałem 233 osób dorosłych z CML Ph+ w fazie przewlekłej, leczonych wcześniej dwoma lub więcej inhibitorami kinazy tyrozynowej. W badaniu tym wykazano, że lek Scemblix był skuteczniejszy od bosutynibu (innego inhibitora kinazy tyrozynowej): po 24 tygodniach leczenia u 25% (40 ze 157) pacjentów, którym podawano lek Scemblix, wystąpiła wyraźna odpowiedź molekularna (co oznacza, że liczba komórek z genem *BCR::ABL1* zmniejszyła się do 1000 razy poniżej standardowej wartości wyjściowej), w porównaniu z 13% (10 z 76) pacjentów, którym podawano bosutynib. Po 96 tygodniach leczenia wyraźna odpowiedź molekularna wystąpiła u 38% (59 ze 157) pacjentów, którym podawano lek Scemblix, i u 16% (12 z 76) pacjentów, którym podawano bosutynib.

## Ryzyko związane ze stosowaniem leku Scemblix

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Scemblix (mogące wystąpić częściej niż u 2 na 10 pacjentów) to: ból mięśni, kości lub stawów, zakażenia górnych dróg oddechowych (nosa i gardła), małopłytkowość (niski poziom płytek krwi), zmęczenie, ból głowy, zwiększona aktywność enzymów trzustkowych, ból brzucha, biegunka i nudności (mdłości).

Najczęstsze poważne działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Scemblix (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: wysięk opłucnowy (płyn w płucach), zakażenia dolnych dróg oddechowych (zakażenia płuc, takie jak zapalenie oskrzeli lub zapalenie płuc), małopłytkowość, gorączka, zapalenie trzustki, ból w klatce piersiowej (niezwiązany z sercem) i wymioty.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Scemblix znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

## Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Scemblix w UE

Wykazano, że lek Scemblix jest skuteczniejszy od innego inhibitora kinazy tyrozynowej w zmniejszaniu liczby komórek z genem *BCR::ABL1* u pacjentów, którzy otrzymali już wcześniej co najmniej dwa inhibitory kinazy tyrozynowej. Pod względem bezpieczeństwa działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Scemblix są podobne do działań obserwowanych w przypadku tej klasy leków i uznaje się je za możliwe do kontrolowania. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Scemblix przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

## Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Scemblix

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Scemblix w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Scemblix są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Scemblix są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące leku Scemblix**

Dalsze informacje na temat leku Scemblix znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Scemblix](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Scemblix)