



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/450923/2016
EMEA/H/C/000978

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Vidaza

azacitidin

Ez a dokumentum a Vidaza-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Vidaza alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Vidaza?

A Vidaza egy azacitidin nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Por formájában kapható, amelyből szuszpenziós injekciót kell készíteni.

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Vidaza?

A Vidaza-t az alábbi betegségekben szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazzák, ha esetükben nem lehet vérképzőőssejt-átültetést (amikor a beteg őssejteket kap a csontvelő egészséges vérsejtek termelésére irányuló képességének a helyreállítására) végezni:

- mielodiszpláziás szindrómák: olyan betegségek csoportja, amelyeknél a csontvelő túl kevés vérsejtet állít elő. A mielodiszpláziás szindrómák néhány esetben akut mieloid leukémiához (AML, egy rákos betegség, amely a mieloid sejteknek nevezett fehérvérsejteket érinti) vezethetnek. A Vidaza-t olyan betegeknek alkalmazzák, akiknél az AML-hez vezető progresszió vagy a halál közepes/magas kockázata áll fenn;
- krónikus mielomonocitás leukémia (CMML, egy rákos betegség, amely a monocitáknak nevezett fehérvérsejteket érinti). A Vidaza-t akkor alkalmazzák, ha a csontvelőt 10–29%-ban rendellenes sejtek alkotják, és a csontvelő nem állít elő nagy számban fehérvérsejteket;
- mielodiszpláziás szindrómából kialakult AML esetén, a csontvelő 20-30%-ban rendellenes sejtekből áll;

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



- AML esetén, amikor a csontvelő több mint 30%-ban tartalmaz rendellenes sejteket.

Mivel az ilyen betegségekben szenvedő betegek száma alacsony, a betegségek „ritkának” minősülnek, ezért a Vidaza-t a mielodiszpláziás szindrómák tekintetében 2002. február 6-án, az AML tekintetében pedig 2007. november 29-én „ritka betegségek elleni gyógyszernek” minősítették. A „ritka betegségek elleni gyógyszer” minősítés kiadásának időpontjában a CMML-t a mielodiszpláziás szindróma egyik típusaként osztályozták.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Vidaza-t?

A Vidaza-kezelést daganatellenes gyógyszerek alkalmazásában jártas szakorvos felügyelete mellett kell elkezdni és nyomon követni. A betegeknek a Vidaza alkalmazása előtt émelygést és hányást megelőző gyógyszereket kell adni.

A Vidaza ajánlott adagja 75 mg/testfelület m² (ezt a beteg magassága és testtömege alapján számítják ki). Egy héten át mindennap a felkar, a comb vagy a has bőre alá, injekcióval adják be, ezután pedig három hétig nem alkalmaznak kezelést. Egy ilyen négyhetes időszak alkot egy „ciklust”. A kezelés legalább hat cikluson keresztül folytatódik, ezután pedig addig, amíg a betegre jótékony hatással van. Minden ciklus előtt máj-, vese- és vérvizsgálatot kell végezni. Ha a vér sejtjes elemeinek száma túl alacsonyra csökken, vagy ha a betegnél veseproblémák alakulnak ki, a következő kezelési ciklust el kell halasztani, vagy kisebb adagot kell alkalmazni.

A részletes információk a (szintén az EPAR részét képező) alkalmazási előírásban találhatóak.

Hogyan fejti ki hatását a Vidaza?

A Vidaza hatóanyaga, az azacitidin az „anti-metabolitok” csoportjába tartozik. Az azacitidin a citidin analógja, ami azt jelenti, hogy beépül a sejtek genetikai anyagába (RNS-be és DNS-be). Az elképzelések szerint úgy fejti ki hatását, hogy megváltoztatja azt, ahogyan a sejt egyes géneket be-, illetve kikapcsol, valamint befolyásolja az új RNS és DNS előállítását is. A jelenlegi nézetek szerint e folyamatok kijavítják a vér fiatal sejtjeinek a csontvelőben zajló érési és fejlődési folyamatában fennálló, a mielodiszpláziás zavarokat okozó problémákat, és elpusztítják a leukémiában szerepet játszó rákos sejteket.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Vidaza-t?

A Vidaza-t két fő vizsgálatban tanulmányozták. Az első vizsgálatban 358, közepes/magas kockázatú mielodiszpláziás szindrómában, CMML-ben vagy AML-ben szenvedő olyan felnőtt vett részt, akiknél valószínűtlen volt az őssejt-átültetés. A betegek csontvelője 30%-ig tartalmazott rendellenes sejteket. A második vizsgálatban 488, AML-ben szenvedő olyan 65 évesnél idősebb beteg vett részt, akiknél nem volt lehetséges a vérképző őssejtbeültetés. A betegek csontvelője több mint 30%-ban tartalmazott rendellenes sejteket. A két vizsgálat a Vidaza-t a szokványos kezeléssel hasonlította össze (ez az egyes betegek számára a helyi gyakorlat és a beteg állapota alapján kiválasztott kezelést jelenti). A hatásosság fő mértéke a betegek túlélésének időtartama volt.

Milyen előnyei voltak a Vidaza alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Vidaza a túlélés meghosszabbítása terén hatásosabb volt a szokványos kezelésnél. Az első vizsgálatban a Vidaza-val kezelt betegek túlélése átlagosan 24,5 hónap volt, szemben a szokványos kezelés alatt álló betegeknél megfigyelt 15,0 hónappal. A Vidaza hatása mindhárom betegség esetén hasonló volt.

A második vizsgálatban a Vidaza-val kezelt, a csontvelőben 30%-nál több rendellenes sejtértéket mutató AML betegek túlélése átlagosan 10,4 hónap volt, szemben a szokványos kezelés alatt álló betegeknél megfigyelt 6,5 hónappal.

Milyen kockázatokkal jár a Vidaza alkalmazása?

A Vidaza alkalmazása során előforduló leggyakoribb mellékhatások a mielodiszpláziás szindrómában, CMML-ben vagy AML-ben (20-30% rendellenes sejt) szenvedő betegek több mint 60%-ánál: a vért érintő reakciók – ideértve az alacsony vérlemezkeszámot, a neutrofil granulociták (a fehérvérsejtek egy típusa) alacsony számát és az alacsony fehérvérsejtszámot –, a gyomrot és a beleket érő hatások – ideértve az émelygést és a hányást –, valamint az injekció beadásának helyén kialakuló reakciók. A mellékhatások hasonlóak voltak a csontvelőben 30%-nál több rendellenes sejtértéket mutató AML betegek esetében. A Vidaza alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Előrehaladott májrákban szenvedő betegeknél vagy szoptató nőknél a Vidaza nem alkalmazható. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Vidaza forgalomba hozatalát?

A CHMP megállapította, hogy a Vidaza alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

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

A Vidaza 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 Vidaza-val kapcsolatos egyéb információ

2008. december 17-én az Európai Bizottság a Vidaza-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Vidaza-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Amennyiben a Vidaza-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 Vidaza-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [itt](#) (mielodiszpláziás szindrómák) és [itt](#) (AML).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 07-2016.