



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/643003/2017
EMA/H/C/003937

[EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára](#)

Xermelo

telotrisztát

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

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

Milyen típusú készítmény a Xermelo és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Xermelo egy olyan gyógyszer, amelyet a karcinoid szindrómának nevezett állapothoz társuló, súlyos **hasmenéstől szenvedő felnőttek** kezelésére alkalmaznak. A karcinoid szindróma akkor alakul ki, ha bizonyos daganatok a szerotonin **nevű** anyagból túl sokat termelnek és választanak ki a vérbe. A többlet szerotonin súlyos hasmenést, valamint egyéb tüneteket, például az arc elvörösödését és görcsöket okozhat. A Xermelót egyéb gyógyszerekkel, úgynevezett szomatosztatin analógokkal együtt alkalmazzák, ha azok a gyógyszerek önmagukban nem elégségesek a hasmenés kontrolljára.

Mivel a karcinoid szindrómában **szenvedő** betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Xermelót 2009. október 8-án „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

A Xermelo hatóanyaga a telotrisztát.

Hogyan kell alkalmazni a Xermelót?

A Xermelo csak receptre kapható. A gyógyszer 250 mg telotrisztátot tartalmazó tablettá formájában kapható, és a javasolt adag naponta háromszor egy tablettá. Enyhén vagy közepes mértékben



csökkent májfunkciójú betegeknél az adag csökkentésére lehet szükség. Az orvos mérlegelheti a kezelés leállítását, ha 12 hét elteltével sem jelentkezik **előnyös** hatás a beteg számára. További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejti ki hatását a Xermelo?

A Xermelo hatóanyaga, a telotrisztát az L-triptofán-hidoxilázoknak nevezett enzimek működését gátolja. Ezek az enzimek a szerotonin **előállításához** szükségesek. Az enzimek gátlása révén a telotrisztát csökkenti a szerotonin termelését a karcinoid szindrómás betegeknél, ezáltal enyhíti a betegség tüneteit.

Milyen **előnyei** voltak a Xermelo alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy **fő** vizsgálatban igazolták a kezelés Xermelóval történt kiegészítésének **előnyös** hatását 135 karcinoid szindrómás beteg részvételével, akiknek a hasmenése szomatostatin analógokkal önmagukban nem volt teljes mértékben kontrollált. A Xermelót placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze, és a **fő** hatékonysági mutató a vizsgálat során a napi székletürítések átlagos számának változása volt a vizsgálat 12 hete során.

Kezdetben a Xermelóval kezelt betegeknél naponta átlagosan 6,1 székletürítés történt, amely 12 hét elteltével átlagosan napi 4,7-re csökkent; ez 1,4-es csökkenést jelent. A placebóval kezelt betegek esetében kezdetben naponta átlagosan 5,2 székletürítés történt, amely átlagosan napi 4,6 székletürítésre csökkent; ez 0,6-es csökkenést jelent. A Xermelo hatásai a kezelés megkezdése után körülbelül 3 héttel alakultak ki.

Milyen kockázatokkal jár a Xermelo alkalmazása?

A Xermelo leggyakoribb mellékhatásai (10 **betegből** több mint egynél jelentkezhetnek) a hasi fájdalom, a gamma-glutamil-transzferáz nevű májenzim szintjének növekedése és fáradtság. Ezek általában enyhék vagy közepesen súlyosak. A leggyakoribb mellékhatás, amely **kellően** súlyos ahhoz, hogy a kezelés leállítását eredményezze, a hasi fájdalom.

A Xermelo alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Xermelo forgalomba hozatalát?

A Xermelo igazoltan csökkenti a székletürítések számát az egyéb gyógyszerekkel nem teljes mértékben kontrollál karcinoid szindrómában **szenvető** betegeknél. Bár a csökkenés kis **mértékű**, szignifikánsnak tartották, mivel a betegek a székletürítések gyakoriságát olyan tünetnek tekintik, amely **jelentősen** befolyásolja az **életminőségüket**. A megfigyelt mellékhatások, amelyek **főként** a beleket érintették, nem vetettek fel súlyos aggályokat, és enyhének és **kezelhetőnek** tartották azokat. Az Európai Gyógyszerügynökség ezért megállapította, hogy a Xermelo alkalmazásának **előnyei** meghaladják a kockázatokat, és javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

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

A Xermelo 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 Xermelóval kapcsolatos egyéb információ

A Xermelóra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Xermelóval 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 Xermelóra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).