



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMADOC-1829012207-31561
EMA/H/C/005244

Koselugo (*selumetinib*)

Información general sobre Koselugo y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Koselugo y para qué se utiliza?

Koselugo es un medicamento que se utiliza para tratar los neurofibromas plexiformes, tumores benignos (no cancerosos) a lo largo de los nervios, cuando presentan síntomas y no pueden extirparse mediante cirugía en adultos y niños a partir de 1 año con neurofibromatosis de tipo 1 (NF1).

La NF1 es una enfermedad «rara», y Koselugo fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 31 de julio de 2018. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano aquí:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050.

Koselugo contiene el principio activo selumetinib.

¿Cómo se usa Koselugo?

Koselugo solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo un médico con experiencia en el diagnóstico y el tratamiento de pacientes con tumores causados por la NF1.

Koselugo se presenta en forma de cápsulas para adultos y niños a partir de 3 años. También está disponible en forma de gránulos en cápsulas para abrir, indicadas para niños de 1 a menos de 7 años y para pacientes mayores con dificultades para tragar.

El medicamento se administra dos veces al día, con un intervalo aproximado de 12 horas. Koselugo en cápsulas no debe administrarse a pacientes que no puedan tragar la cápsula entera.

Antes y durante el tratamiento con Koselugo, el médico comprobará el funcionamiento del corazón, los ojos y el hígado del paciente. El tratamiento debe mantenerse mientras el paciente mejore o permanezca estable y los efectos adversos sean tolerables. El médico puede reducir la dosis o interrumpir el tratamiento temporalmente si se producen determinados efectos adversos.

Si desea más información sobre el uso de Koselugo, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



¿Cómo actúa Koselugo?

El principio activo de Koselugo, el selumetinib, bloquea unas enzimas (proteínas) llamadas MEK1 y MEK2 que intervienen en la estimulación del crecimiento celular. La MEK1 y la MEK2 son excesivamente activas en la NF1, lo que hace que las células tumorales crezcan de forma incontrolada. Al bloquear estas enzimas, el selumetinib ayuda a ralentizar el crecimiento de las células tumorales.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Koselugo en los estudios realizados?

Dos estudios principales concluyeron que Koselugo es eficaz en el tratamiento de los neurofibromas plexiformes en niños y adultos con NF1 al reducir el tamaño de estos tumores. El criterio principal de valoración de la eficacia en ambos estudios fue la proporción de pacientes que respondieron al tratamiento con Koselugo. Se consideró que los pacientes habían respondido cuando no había signos de tumores (respuesta completa) o cuando los tumores se redujeron en tamaño en al menos un 20 % (respuesta parcial), y la respuesta se confirmó en un plazo de 3 a 6 meses.

En el estudio, el tamaño tumoral disminuyó al menos un 20 % en 33 de 50 (66 %) pacientes pediátricos de 3 años en adelante con NF1 y neurofibromas plexiformes que no podían extirparse mediante cirugía. En este estudio, Koselugo no se comparó con ningún otro medicamento ni con un placebo (un tratamiento ficticio).

En el segundo estudio, en el que participaron 145 adultos con NF1 y neurofibromas plexiformes, el tamaño de los tumores disminuyó al menos un 20 % en 14 de 71 pacientes (alrededor del 20 %) que recibieron Koselugo, en comparación con 4 de 74 (alrededor del 5 %) de los pacientes a los que se administró placebo.

La empresa también presentó datos que demuestran que, cuando se administra en forma de gránulos, el principio activo de Koselugo, el selumetinib, se comporta en el organismo de forma comparable a cuando se administra en forma de cápsula.

Los datos de un estudio en curso demostraron además que, en niños de 1 a menos de 3 años, Koselugo se comporta en el organismo de la misma forma que en niños de 3 años o más.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Koselugo?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Koselugo se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Koselugo en niños (pueden afectar a más de 4 de cada 10 pacientes) son vómitos, erupción cutánea, aumento de la creatina fosfocinasa en sangre (una enzima que se libera en la sangre cuando el músculo está dañado), diarrea, náuseas (ganas de vomitar), estomatitis (inflamación de la mucosa de la boca), episodios de astenia (sensación de debilidad), piel seca, fiebre, erupción acneiforme (una erupción similar al acné), hipoalbuminemia (niveles bajos de albúmina, una proteína de la sangre), aumento de la aspartato aminotransferasa (una enzima que indica un posible signo de problemas hepáticos), disminución de la hemoglobina (la proteína de los glóbulos rojos que transporta oxígeno por todo el organismo) y paroniquia (infección del lecho de las uñas).

Algunos efectos adversos de Koselugo en niños pueden ser graves. Los más frecuentes (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son diarrea, anemia (bajo recuento de glóbulos rojos), fiebre, aumento de la creatina fosfocinasa en sangre, aumento de la creatinina en sangre (un signo de problemas renales), edema periférico (hinchazón, especialmente de tobillos y pies) y vómitos.

Los efectos adversos más frecuentes de Koselugo en adultos (pueden afectar a más de 2 de cada 10 pacientes) son erupción acneiforme (una erupción similar al acné), aumento de la creatina fosfocinasa en sangre, diarrea, erupción cutánea y vómitos.

Koselugo no debe administrarse a pacientes con enfermedad hepática grave.

¿Por qué se ha autorizado Koselugo en la UE?

Los neurofibromas plexiformes pueden causar desfiguración, dificultades de movimiento, dolor y problemas nerviosos. Se ha demostrado que Koselugo reduce el tamaño tumoral en adultos y niños de 3 años o más con neurofibromas plexiformes asociados al NF1 que no pueden eliminarse por cirugía. Dado que la enfermedad afecta a los niños pequeños de la misma manera que a los niños mayores y que Koselugo actúa de la misma manera en todos los grupos de edad, se espera que el medicamento también sea eficaz en niños de 1 a menos de 3 años de edad. Como medida de precaución, la dosis debe aumentarse gradualmente en estos niños más pequeños. En términos de seguridad, los efectos adversos de Koselugo se consideran controlables.

A Koselugo se le concedió una «autorización condicional». Esto significa que ha sido autorizado sobre la base de datos menos exhaustivos que lo que se requiere normalmente porque satisface una necesidad médica no cubierta. La Agencia considera que el beneficio de disponer antes de este medicamento supera los riesgos asociados al uso del medicamento mientras se esperan más pruebas.

La empresa debe proporcionar más datos sobre Koselugo. Debe presentar los resultados de un estudio en curso para confirmar la seguridad a largo plazo de Koselugo en niños con NF1 de 3 años o más. La Agencia revisará anualmente la información más reciente de que se disponga.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Koselugo?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Koselugo se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Koselugo se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados de Koselugo se evalúan cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Koselugo

Koselugo recibió una autorización de comercialización condicional válida en toda la UE el 17 de junio de 2021.

Puede encontrar más información sobre Koselugo en la página web de la Agencia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/koselugo.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 12-2025.