



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

28 de febrero de 2025
EMA/77307/2025
EMA/H/C/006169

Denegación de la autorización de comercialización de Kizfizo (temozolomida)

La denegación se confirma tras la revisión

Tras revisar su dictamen inicial, la Agencia Europea de Medicamentos ha confirmado su recomendación de denegar la autorización de comercialización del medicamento Kizfizo. El medicamento estaba destinado al tratamiento de niños con neuroblastoma, un cáncer de las células nerviosas.

La Agencia emitió su dictamen tras la revisión el 27 de febrero de 2025. La Agencia había emitido su dictamen inicial el 14 de noviembre de 2024. La empresa que solicitó la autorización de Kizfizo es Orphelia Pharma.

¿Qué es Kizfizo y a qué uso estaba destinado?

Kizfizo se desarrolló como medicamento contra el cáncer para el tratamiento de niños mayores de 1 años con neuroblastoma de alto riesgo. Estaba destinado a utilizarse en combinación con otro medicamento contra el cáncer, el irinotecán o el topotecán, en:

- niños cuyo neuroblastoma no había mejorado con la quimioterapia (otros medicamentos utilizados para tratar el cáncer);
- niños cuya enfermedad ha reaparecido y está empeorando después de haber recibido previamente quimioterapia y un trasplante de células madre (un procedimiento en el que se sustituyen las células productoras de sangre de un paciente).

Kizfizo contiene el principio activo temozolomida y se desarrolló como medicamento «híbrido», es decir, similar a un «medicamento de referencia» que contiene el mismo principio activo, pero con algunas diferencias entre los dos.

Mientras que el medicamento de referencia, Temodal, se presenta en forma de cápsulas o polvo para preparar una solución para perfusión (goteo) intravenosa, Kizfizo es un líquido que se administra por vía oral o a través de una sonda que va de la nariz al estómago.

Kizfizo fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 21 de agosto de 2019 para el neuroblastoma. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web de la Agencia](#).



¿Cómo actúa Kizfizo?

El principio activo de Kizfizo, la temozolomida, es un agente alquilante. En el organismo, se transforma en otro compuesto denominado MTIC. El MTIC modifica el ADN de forma que impide que las células se dividan, provocando su muerte. De este modo, se espera que la temozolomida ralentice el crecimiento del neuroblastoma.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

El medicamento de referencia Temodal está autorizado para otro cáncer (glioblastoma), pero se ha utilizado para el tratamiento del neuroblastoma. La empresa llevó a cabo un estudio para investigar si Kizfizo es «bioequivalente» a Temodal. Dos medicamentos son bioequivalentes cuando producen la misma concentración de principio activo en el organismo y se espera, por tanto, que tengan el mismo efecto.

La empresa presentó también los resultados de un estudio clínico en el que participaron 102 pacientes de hasta 21 años de edad con neuroblastoma a los que se administró temozolomida en monoterapia y en combinación con irinotecán o topotecán. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la respuesta al tratamiento. La empresa respaldó estos hallazgos con los resultados de un estudio observacional en el que participaron niños con neuroblastoma tratados con temozolomida.

¿Cuáles fueron los motivos principales para denegar la autorización de comercialización?

La Agencia señaló que, tanto en los estudios clínicos como en los estudios de observación (en los que no se comparó la temozolomida con ningún otro tratamiento), la proporción de pacientes que respondieron a la combinación de temozolomida más irinotecán o topotecán era demasiado modesta como para demostrar que es beneficiosa para los pacientes. Además, no fue posible determinar el efecto de la temozolomida sobre la base de los datos de estos estudios.

Por consiguiente, la Agencia consideró que no podía establecerse la relación entre los beneficios y los riesgos de Kizfizo en el tratamiento de los niños con neuroblastoma.

Tras recibir una petición de la empresa, el CHMP volvió a examinar los datos disponibles y también recabó el asesoramiento de un grupo de expertos a los que se pidió que respondieran a varias preguntas sobre los beneficios del medicamento. Dado que no se resolvieron las preocupaciones del Comité, la denegación inicial se confirmó tras un nuevo examen.

¿Qué consecuencias tiene esta denegación para los pacientes que participan en los ensayos clínicos?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos con Kizfizo.

Si participa usted en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico que le administra el medicamento.