



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/543934/2024
EMA/H/C/002464

Jakavi (*ruksolitinibi*)

Yleistiedot Jakavista sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Jakavi on ja mihin sitä käytetään?

Jakavi on lääkevalmiste, jota käytetään seuraavien sairauksien hoitoon:

- splenomegalia (suurentunut perna) tai muut sairauteen liittyvät oireet, kuten kuume, yöhikoilu, luukipu ja painonlasku aikuisilla, joilla on myelofibroosi; myelofibroosi on sairaus, jossa luuydin tiivistyy ja jäykistyy ja tuottaa epänormaaleja ja epäkypsiä verisoluja
- polysytemia vera aikuisilla, joilla hoito hydroksikarbamidilla (tunnetaan myös nimellä hydroksiurea) ei tehoa tai aiheuttaa liiallisia haittavaikutuksia; polysytemia verassa elimistö tuottaa liikaa punasoluja, mikä voi vähentää veren virtausta elimiin veren paksuuntumisen vuoksi ja aiheuttaa toisinaan verihyytymiä
- akuutti käänteishyljintä (GvH-reaktio, jossa luovutetut solut hyökkäävät elimistöä vastaan pian siirron jälkeen) aikuisilla ja vähintään 28 päivän ikäisillä lapsilla, joilla kortikosteroidit tai muut systeemiset hoidot (suun kautta tai injektiona annetut hoidot) eivät ole tehonneet riittävän hyvin
- krooninen käänteishyljintä (joka yleensä kehittyy myöhemmin kuin akuutti GvH-reaktio, useiden viikkojen ja kuukausien kuluessa siirrosta) aikuisilla ja vähintään 6 kuukauden ikäisillä lapsilla, joilla kortikosteroidit tai muut systeemiset hoitomuodot eivät ole tehonneet riittävän hyvin.

Jakavin vaikuttava aine on ruksolitinibi.

Miten Jakavia käytetään?

Jakavia saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa vain lääkäri, jolla on kokemusta potilaiden hoitamisesta syöpälääkkeillä.

Jakavia on saatavana tabletteina ja suun kautta otettavana liuoksena, jotka otetaan kahdesti vuorokaudessa. Suositeltu annos määräytyy hoidettavan sairauden mukaan.

Annosta on pienennettävä tai hoito lopetettava, jos tiettyjä haittavaikutuksia ilmenee.

Lisätietoa Jakavin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

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



Miten Jakavi vaikuttaa?

Jakavin vaikuttava aine ruksolitinibi estää Janus-kinaaseiksi kutsuttujen entsyymien toimintaa. Janus-kinaasit liittyvät verisolujen tuotantoon ja kasvuun. Myelofibroosissa ja polysytemia verassa Janus-kinaasien liian aktiivinen toiminta johtaa epänormaaliin verisolujen tuotantoon. Nämä verisolut voivat siirtyä elimiin, myös pernaan, mikä johtaa elinten laajenemiseen. Janus-kinaasit osallistuvat myös käänteishyljintään liittyvien immuunijärjestelmän (kehon luonnollisen puolustusmekanismin) solujen kehittymiseen ja aktivointiin. Estämällä Janus-kinaasien toimintaa ruksolitinibi auttaa vähentämään tulehdusta ja siten vähentämään akuutin ja kroonisen käänteishyljinnän oireita.

Mitä hyötyä Jakavista on havaittu tutkimuksissa?

Myelofibroosi

Jakavi oli lumelääkettä tehokkaampi ja paras käytettävissä oleva hoito pernan koon pienentämiseksi kahdessa päätutkimuksessa, joihin osallistui 528 aikuispotilasta. Ensimmäisessä tutkimuksessa pernan koon tavoiteltu pieneneminen 35 prosentilla kuuden kuukauden hoidon jälkeen saavutettiin 42 prosentilla Jakavilla hoidetuista potilaista (65 potilaalla 155:stä), kun vastaava osuus lumelääkettä saaneilla oli alle 1 prosentti (1 potilasta 153:stä). Toisessa tutkimuksessa pernan koon tavoiteltu pieneneminen 35 prosentilla vuoden hoidon jälkeen saavutettiin 29 prosentilla Jakavilla hoidetuista potilaista (41 potilaalla 144:stä), kun parasta käytettävissä olevaa hoitoa, kuten syöpälääkkeitä, hormoneja ja immunosuppressiivisia lääkkeitä, saaneista 72 potilaasta kenelläkään ei saavutettu tavoitetta.

Polysytemia vera

Jakavi paransi potilaiden tilaa yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 222 aikuispotilasta, joilla hydroksikarbamidi ei tehonnut tai joille se oli aiheuttanut liiallisia haittavaikutuksia. Tilan kohenemisen mittarina oli alle yhden flebotomiahoidon (liian veren poistaminen kehosta) tarve sekä pernan koon pieneneminen vähintään 35 prosenttia. Tässä tutkimuksessa 21 prosentilla Jakavia saaneista potilaista (23 potilasta 110:stä) potilaan tila koheni 8 kuukauden hoidon jälkeen, kun taas parasta saatavilla olevaa hoitoa saaneiden potilaiden vastaava osuus oli 1 prosentti (1 potilas 112:sta).

Käänteishyljintä

Jakavi vähensi tehokkaasti sekä akuutin että kroonisen käänteishyljinnän oireita aikuisilla ja vähintään 12-vuotiailla nuorilla kahdessa päätutkimuksessa.

Ensimmäiseen tutkimukseen osallistui 309 aikuista ja vähintään 12-vuotiaasta nuorta, joilla oli allogeenisesta kantasolusiirrosta (luovuttajalta saatujen kantasolujen siirto) johtuva akuutti käänteishyljintä. Näillä potilailla akuutin käänteishyljinnän kortikosteroidihoito ei tehonnut. Siinä tarkasteltiin niiden potilaiden osuutta, joiden oireet olivat vähentyneet (osittainen vaste) tai joilla niitä ei ollut enää lainkaan oireita (täydellinen vaste) neljän viikon Jakavi-hoidon tai parhaan käytettävissä olevan hoidon jälkeen. Tutkimuksessa 62 prosentille Jakavia saaneista potilaista (96 potilasta 154:stä) kehittyi joko täydellinen tai osittainen hoitovaste, kun vastaava osuus muuta hoitoa saaneista potilaista oli 39 prosenttia (61 potilasta 155:stä).

Toiseen tutkimukseen osallistui 329 aikuista ja vähintään 12-vuotiaasta nuorta, joilla oli allogeenisesta kantasolusiirrosta johtuva krooninen käänteishyljintä. Näillä potilailla kroonisen käänteishyljinnän kortikosteroidihoito ei tehonnut. Tässä tutkimuksessa 24 hoitoviikon jälkeen 50 prosentille Jakavia saaneista potilaista (82 potilasta 165:stä) kehittyi täydellinen tai osittainen vaste, kun vastaava osuus parasta käytettävissä olevaa hoitoa sairauteensa saaneista potilaista oli 26 prosenttia (42 potilasta 164:stä).

Tiedot Jakavin vaikutuksesta elimistössä osoittivat, että kun lääkettä annetaan alle 12-vuotiaille lapsille akuutin ja kroonisen kääntheishyljinnän hoitoon suositelluilla annoksilla, sen pitoisuus veressä on lapsilla samanlainen kuin aikuisilla.

Mitä riskejä Jakaviin liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Jakavin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Myelofibroosia sairastavilla Jakavin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat trombositopenia (verihiutaleiden niukkuus), anemia (punasolujen niukkuus), neutropenia (neutrofiilien niukkuus), verenvuoto, mustelmat, hypertriglyseridemia (veren suuri rasvapitoisuus), huimaus ja kohonneet maksa-arvot.

Polysytemia veraa sairastavilla Jakavin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat trombositopenia, anemia, painonnousu, päänsärky, huimaus, hyperkolesterolemia (korkeat kolesteroliarvot) sekä kohonneet maksa-arvot.

Akuutissa kääntheishyljinnässä Jakavin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) aikuisilla ja nuorilla ovat trombositopenia, anemia, neutropenia sekä alaniiniaminotransferaasin ja aspartaattiaminotransferaasin pitoisuuksien nousu. Jakavin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) nuorilla ja lapsilla ovat trombositopenia, anemia, neutropenia, hyperkolesterolemia ja alaniiniaminotransferaasin pitoisuuksien nousu.

Kroonisessa kääntheishyljinnässä Jakavin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) aikuisilla ja nuorilla ovat anemia, hyperkolesterolemia ja aspartaattiaminotransferaasin pitoisuuksien nousu. Yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) lapsilla ja nuorilla ovat neutropenia, hyperkolesterolemia ja alaniiniaminotransferaasin pitoisuuksien nousu.

Raskaana olevat tai imettävät naiset eivät saa käyttää Jakavia.

Miksi Jakavi on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Jakavin hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Myelofibroosia sairastavilla Jakavia käyttävillä potilailla pernan pieneneminen ja oireiden helpottaminen ovat kliinisesti merkittäviä, ja potilaiden elämänlaatu paranee. Polysytemia veran osalta virasto katsoi, että Jakavista on hyötyä potilaille, joilla hydroksikarbamidihoito ei tehoa tai aiheuttaa liiallisia haittavaikutuksia. Kääntheishyljinnän hoidossa Jakavin on osoitettu vähentävän oireita aikuisilla ja yli 12-vuotiailla nuorilla. Lääkkeen vaikutustavan perusteella sen tehon ja turvallisuusprofiilin akuutin ja kroonisen kääntheishyljinnän hoidossa nuoremmilla lapsilla odotetaan olevan samat kuin aikuisilla.

Turvallisuuden osalta virasto katsoi, että Jakavin haittavaikutuksia voidaan hallita asianmukaisesti.

Miten voidaan varmistaa Jakavin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Jakavin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Jakavin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Jakavista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Jakavista

Jakavi sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 23. elokuuta 2012.

Lisätietoja Jakavista on viraston verkkosivustolla osoitteessa.

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

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 12-2024.