



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244286/2021
EMA/H/C/005244

Koselugo (*selumetinibi*)

Yleiskatsaus, joka koskee Koselugo-valmistetta ja sitä, miksi se on saanut myyntiluvan EU:ssa

Mitä Koselugo on ja mihin sitä käytetään?

Koselugo on lääke, jota käytetään pleksiformisten neurofibroomien (hyvänlaatuisten hermokasvainten) hoitoon, kun ne aiheuttavat oireita eikä niitä voida poistaa kirurgisesti, vähintään 3-vuotiailla lapsilla, joilla on tyypin 1 neurofibromatoosi (NF1).

NF1 on harvinainen sairaus, ja Koselugo nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 31. heinäkuuta 2018. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy osoitteesta: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050.

Koselugon vaikuttava aine on selumetinibi.

Miten Koselugoa käytetään?

Koselugo on reseptivalmiste, ja sitä on saatavana kapselina. Hoidon voi aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta NF1-tautiin liittyvien kasvainten diagnosoinnista ja hoidosta.

Koselugon suositusannos määritetään potilaan painon ja pituuden ja painon perusteella. Lääke otetaan kahdesti vuorokaudessa noin 12 tunnin välein tyhjään mahaan. Lääkettä ei saa antaa potilaille, jotka eivät pysty nielemään kapselia kokonaisuina.

Lääkäri tarkastaa ennen Koselugo-hoidon aloittamista ja hoidon aikana, miten hyvin potilaan sydän, silmät ja maksa toimivat. Hoitoa jatketaan niin kauan kuin potilaan tila paranee tai pysyy vakaana ja haittavaikutukset ovat siedettäviä. Lääkäri voi pienentää annostusta tai keskeyttää hoidon väliaikaisesti tai pysyvästi, jos tiettyjä haittavaikutuksia ilmenee.

Lisätietoja Koselugon käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Koselugo vaikuttaa?

Koselugon vaikuttava aine selumetinibi estää MEK1- ja MEK2-nimisten entsyymien (MEK1/2) toimintaa. Nämä entsyymit stimuloivat solujen kasvua. MEK1/2 ovat NF1:ää sairastavilla potilailla yliaktiivisia, minkä vuoksi kasvainsolut kasvavat hallitsemattomasti. Salpaamalla näiden entsyymien toiminnan Koselugo auttaa hidastamaan kasvainsolujen kasvua.

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



Mitä hyötyä Koselugosta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa osoitettiin, että Koselugo on tehokas NF1-tautia sairastavien lasten pleksiformisten neurofibroomien hoidossa, sillä se pienensi kasvainten kokoa. Tutkimuksessa kasvainten koko pieneni vähintään 20 prosenttia 33 lapsella 50:stä (66 prosentilla). Lasten ikä oli vähintään 3 vuotta, ja heillä oli NF1 ja siihen liittyviä pleksiformeja neurofibroomia, joita ei voitu poistaa kirurgisesti. Tässä tutkimuksessa Koselugoa ei verrattu muihin lääkevalmisteisiin.

Mitä riskejä Koselugoon liittyy?

Koselugon yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin 4 potilaalle 10:stä) ovat oksentelu, ihottuma, veren kreatiinikinaasiarvojen kohoaminen (lihasvaurion yhteydessä vereen vapautuva entsyymi), ripuli, pahoinvointi, heikotus, ihon kuivuminen, kuume, aknea muistuttava ihottuma, hypoalbuminemia (matala albumiinipitoisuus; albumiini on yksi veren proteiini), aspartaattiaminotransferaasin (entsyymi, jonka aktiivisuuden kasvu on merkki mahdollisista maksaongelmista) pitoisuuden lisääntyminen ja kynsivallintulehdus.

Koselugon yleisimmät vakavat haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat ripuli, anemia (alhainen veren punasolujen määrä), kuume, veren kreatiinikinaasiarvojen kohoaminen sekä veren kreatiniiniarvojen kohoaminen (merkki munuaisongelmista).

Koselugoa ei saa antaa potilaille, joilla on vaikea maksasairaus.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Koselugon haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Koselugo on hyväksytty EU:ssa?

Pleksiformiset neurofibroomat voivat aiheuttaa epämuodostumia, kipua ja hermojen toimintahäiriöitä sekä vaikeuttaa liikkumista. Lapsille, joiden pleksiformisia neurofibrooseja ei voida poistaa kirurgisesti, ei ole olemassa hyväksytyjä hoitovaihtoehtoja. Siksi hoidon tarve on suuri. Koselugon on osoitettu pienentävän tehokkaasti kasvainten kokoa tällaisilla vähintään 3-vuotiailla lapsilla. Tutkimukseen osallistuneiden lasten määrä oli pieni sairauden harvinaisuuden vuoksi. Vaikka turvallisuutta koskevia tietoja on vähän, ne osoittavat, että Koselugon haittavaikutukset ovat hallittavissa. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Koselugo-valmisteesta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Koselugolle annettiin ns. ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa, että lääkevalmisteesta odotetaan saatavan lisää tietoja, jotka yhtiö on velvollinen toimittamaan. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Koselugosta odotetaan vielä saatavan?

Koska Koselugolle on myönnetty ehdollinen myyntilupa, lääkettä markkinoiva yhtiö toimittaa lisätietoja kahdesta meneillään olevasta tutkimuksesta, joiden tarkoituksena on vahvistaa Koselugon hyötyä ja käytön turvallisuus vähintään 3-vuotiailla NF1-lapsilla. Yhtiö tekee myös kolmannen lapsilla tehtävän tutkimuksen, josta saadaan lisää tietoa lääkkeen turvallisuudesta pitkäaikaisessa käytössä.

Miten voidaan varmistaa Koselugon turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Koselugon käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

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

Muita tietoja Koselugosta

Lisää tietoa Koselugosta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa:

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