



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/54220/2026
EMA/H/C/006140

Ojemda (*tovorafenibi*)

Yleistajuiset yleistiedot Ojemdasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Ojemda on ja mihin sitä käytetään?

Ojemda on lääke, jolla hoidetaan vähintään kuuden kuukauden ikäisten lasten matala-asteista glioomaa (eräs aivokasvaintyyppi). Sitä voidaan käyttää, kun kasvaimessa on tiettyjä muutoksia *BRAF*-geenissä (kuten *BRAF*-fuusio tai -uudelleenjärjestymä tai V600-mutaatio) potilailla, joiden sairaus on pahentunut huolimatta aiemmasta hoidosta yhdellä tai useammalla systeemisellä lääkkeellä (koko elimistöön vaikuttavilla lääkkeillä).

Gliooma on harvinainen sairaus, ja Ojemda nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 20. toukokuuta 2021. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Ojemdan vaikuttava aine on tovorafenibi.

Miten Ojemdaa käytetään?

Ojemdaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoito on aloitettava ja toteutettava syöpälääkkeiden käyttöön perehtyneen lääkärin valvonnassa. Ennen hoidon aloittamista potilaille on tehtävä testi sen varmistamiseksi, että heidän syöpäsoluissaan on *BRAF*-fuusio tai -uudelleenjärjestymä tai V600-mutaatio.

Ojemdaa on saatavana tabletteina ja jauheena, josta valmistetaan oraalisuspensio (juotava neste). Se otetaan suun kautta kerran viikossa ruoan kanssa tai ilman sitä.

Ojemda-hoitoa jatketaan niin kauan kuin potilas hyötyy siitä ja haittavaikutukset ovat siedettäviä.

Lisätietoja Ojemdan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Ojemda vaikuttaa?

Potilailla, joilla on lasten matala-asteinen gliooma ja joiden kasvaimessa on tiettyjä muutoksia *BRAF*-geenissä, mukaan luettuina *BRAF* V600 -mutaatiot, *BRAF*-fuusiot ja -uudelleenjärjestymät, RAF-proteiinit aiheuttavat kasvainsolujen kasvua ja lisääntymistä. Ojemdan vaikuttava aine tovorafenibi vaikuttaa estämällä RAF-proteiinien toimintaa. RAF-proteiineihin vaikuttamalla tovorafenibi auttaa hidastamaan tai pysäyttämään solujen sisäisiä viestejä, jotka aiheuttavat kasvaimen 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 Ojemdasta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimus osoitti, että Ojemda on tehokas lasten matala-asteista glioomaa sairastavilla potilailla, joiden kasvaimessa oli muutoksia *BRAF*-geenissä ja joiden sairaus oli pahentunut huolimatta aiemmasta hoidosta yhdellä tai useammalla systeemisellä lääkkeellä.

Tutkimukseen osallistui 77 potilasta. Tutkimuksessa Ojemdaa ei verrattu toiseen lääkkeeseen tai lumelääkkeeseen. Neljäkymmentä potilasta (52,6 prosenttia) saavutti vasteen jossakin vaiheessa viikoittaisen Ojemda-hoidon aikana, ja hoitovaste kesti keskimäärin 18 kuukautta. Yhdelläkään potilaalla ei saavutettu täydellistä hoitovastetta (kasvaimen häviäminen eikä uusia muutoksia). Yhteensä 29 potilaalla saavutettiin osittainen vaste (kasvaimen koko pieneni vähintään 50 prosenttia eikä uusia muutoksia ollut) ja 11 potilaalla saavutettiin lievä vaste (kasvaimen koko pieneni 25–49 prosenttia eikä uusia muutoksia ollut).

Ojemdalla tehtyjä tutkimuksia kuvataan tarkemmin lääkevalmisteen arviointiraportissa.

Mitä haittavaikutuksia ja rajoituksia Ojemdaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Ojemdan haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Ojemdan yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat hiusten värimuutokset, veren kreatiinikinaasipitoisuuden suureneminen (lihasvaurion yhteydessä vereen vapautuva entsyymi), väsymys, anemia (veren punasolujen vähyys), oksentelu, veren fosfaattien vähyys, päänsärky, ihottuma, kuume, kasvun hidastuminen, kuiva iho, maksaentsyymien kohonneet pitoisuudet (aspartaattiaminotransferaasi ja laktaattidehydrogenaasi), pahoinvointi, ummetus, ylähengitysteiden (nenän ja nielun) infektiot, aknetyyppinen ihottuma (aknea muistuttava ihotulehdus), nenäverenvuoto, heikentynyt ruokahalu ja kynsivallintulehdus.

Miksi Ojemda on hyväksytty EU:ssa?

Ojemdan hyväksymisen aikaan potilailla, joilla on matala-asteinen gliooma, oli vain vähän hoitovaihtoehtoja, kuten leikkaus ja solunsalpaajahoito. Lisäksi kohdennettua hoitoa oli saatavilla vain potilaille, joiden kasvaimissa oli *BRAF* V600E -mutaatio. Potilaille, joiden sairaus oli pahentunut hoidon jälkeen, ei ollut saatavilla muita hoitovaihtoehtoja. Vaikka tiedot saatiin tutkimuksesta, jossa Ojemdaa ei verrattu toiseen hoitoon, lääkkeen osoitettiin olevan tehokas lasten matala-asteista glioomaa sairastavilla potilailla, joiden kasvaimessa oli muutoksia *BRAF*-geenissä ja joiden sairaus oli pahentunut huolimatta aiemmasta hoidosta yhdellä tai useammalla systeemisellä lääkkeellä. Turvallisuuden osalta haittavaikutusten katsottiin olevan hallittavissa asianmukaisella seurannalla ja annostusta muuttamalla.

Ojemdalle on myönnetty ehdollinen myyntilupa EU:ssa. Tämä tarkoittaa, että sille on myönnetty myyntilupa tavanomaista suppeampien tietojen perusteella, koska kyseisessä käyttöaiheessa hoitovaihtoehtoja on vain vähän. Euroopan lääkevirasto katsoo, että lääkevalmisteen varhennetusta käyttöönotosta saatavat hyödyt ovat suuremmat kuin sen riskit, kun lääkevalmisteesta vielä odotetaan lisänäyttöä.

Yhtiön on toimitettava lisätietoja Ojemdasta. Sen on toimitettava lopulliset tulokset meneillään olevasta kliinisestä tutkimuksesta, johon osallistuu vähintään kuuden kuukauden ikäisiä potilaita, joilla on matala-asteinen gliooma, ja jossa Ojemdan tehoa ja turvallisuutta verrataan solunsalpaajahoitoon. Virasto arvioi vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot.

Miten voidaan varmistaa Ojemdan turvallinen ja tehokas käyttö?

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

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Ojemdan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Ojemdasta ilmoitetut epäillyt haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet tehdään potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Ojemdasta

Lisätietoja Ojemdasta, kuten pakkausseloste ja arviointiraportti, on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ojemda.

Tietoa tämän lääkkeen saatavuudesta kussakin maassa saa ottamalla yhteyttä kansalliseen toimivaltaiseen viranomaiseen.