EMA/159423/2023
EMEA/H/C/005130

Pedmarqsi (*natriumtiosulfaatti*)

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

Mitä Pedmarqsi on ja mihin sitä käytetään?

Pedmarqsi on lääke, jota käytetään vähintään 1 kuukauden ja enintään 18 vuoden ikäisillä potilailla vähentämään sisplatiinin aiheuttaman kuulonaleneman riskiä, kun sisplatiinia käytetään sellaisten kiinteiden kasvainten hoitoon, jotka eivät ole levinneet.

Pedmarqsin vaikuttava aine on natriumtiosulfaatti.

Miten Pedmarqsia käytetään?

Pedmarqsia saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Sitä annetaan asianmukaisesti pätevöityneen lääkärin valvonnassa sairaalassa. Se annetaan 15 minuuttia kestävänä infuusiona (tiputuksena) laskimoon, tarkalleen 6 tuntia sisplatiinin antamisen jälkeen.

Lisätietoja tämän lääkkeen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Pedmarqsi vaikuttaa?

Pedmarqsin vaikutustapaa ei täysin tunneta, mutta vaikuttavan aineen, natriumtiosulfaatin, uskotaan vaikuttavan sitomalla sisplatiinia, joka ei ole sitoutunut soluihin, mikä estää sitoutumattoman sisplatiinin toimintaa ja ehkäisee ns. happivapaiden radikaalien aiheuttamia soluvaurioita. Näiden vaikutusten yhdistelmän odotetaan auttavan suojaamaan korvaa sisplatiinin aiheuttamalta kuulonalenemalta.

Mitä hyötyä Pedmarqsista on havaittu tutkimuksissa?

Kahdessa tutkimuksessa havaittiin, että Pedmarqsi vähensi kuulonaleneman riskiä vähintään 1 kuukauden ja enintään 18 vuoden ikäisillä lapsilla ja nuorilla, jotka saivat sisplatiinia kiinteiden kasvainten hoitoon.

Ensimmäiseen tutkimukseen osallistui 114 hepatoblastoomaa (maksasyöpä) sairastavaa lasta, joiden keski-ikä oli noin 19 kuukautta. Tulokset osoittivat, että kuulonalenemaa esiintyi 35 prosentilla lapsista, jotka saivat Pedmarqsia kuusi tuntia sisplatiiniannoksen jälkeen (20 potilasta 57:stä), kun pelkkää sisplatiinia saaneiden lasten vastaava osuus oli 67 prosenttia (35 potilasta 52:sta).

© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Toiseen tutkimukseen osallistui 125 vähintään 1 kuukauden ja enintään 18 vuoden ikäistä lasta, joilla oli erityyppisiä syöpiä, kuten hepatoblastoomaa, neuroblastoomaa (epäkypsien hermosolujen syöpä) ja keskushermoston kasvaimia. Tutkimuksessa todettiin, että kuulonalenemaa esiintyi 29 prosentilla (14 potilaalla 49:stä) lapsista, jotka saivat Pedmarqsia kunkin sisplatiiniannoksen jälkeen, kun vastaava osuus pelkästään sisplatiinia saaneista potilaista oli 56 prosenttia (31 potilasta 55:stä).

Mitä riskejä Pedmarqsiin liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Pedmarqsin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Pedmarqsin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat oksentelu, pahoinvointi, hypernatremia (veren korkea natriumpitoisuus), hypofosfatemia (veren alhainen fosfaattipitoisuus) ja hypokalemia (veren alhainen kaliumpitoisuus).

Pedmarqsin yleisin vakava haittavaikutus (jota saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) on yliherkkyysreaktiot (allergiset reaktiot).

Pedmarqsia ei saa antaa alle 1 kuukauden ikäisille vauvoille.

Miksi Pedmarqsi on hyväksytty EU:ssa?

Sisplatiinin aiheuttama kuulonalenema on merkittävä kliininen ongelma, johon ei ollut saatavilla hoitovaihtoehtoja Pedmarqsi-valmisteen myyntiluvan myöntämisen aikaan. Pedmarqsin on osoitettu ehkäisevän sisplatiinin aiheuttamaa kuulon heikkenemistä lapsilla ja nuorilla, jotka saavat sisplatiinihoitoa tiettyihin syöpiin. Lisäksi Pedmarqsin turvallisuusprofiili on samanlainen kuin natriumtiosulfaatin turvallisuusprofiili muissa käyttöaiheissa, ja sitä pidetään hyväksyttävänä. Siksi Euroopan lääkevirasto katsoi, että Pedmarqsista saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Pedmarqsin turvallinen ja tehokas käyttö?

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

Muiden lääkkeiden tavoin myös Pedmarqsin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Pedmarqsista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Pedmarqsista

Lisää tietoa Pedmarqsista on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pedmarqsi.