



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/613753/2022
EMA/H/C/005605

Scemblix (*askiminibi*)

Yleistiedot Scemblix-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Scemblix on ja mihin sitä käytetään?

Scemblix on syöpälääke. Sitä käytetään kroonisen myeloosin leukemian (KML) kroonisen vaiheen hoitoon. KML on veren valkosolujen syöpä, joka kroonisessa vaiheessa etenee hitaasti ja potilaalla on vain vähän tai ei ole lainkaan oireita. Lääkettä voidaan antaa aikuispotilaille, joiden syöpä on Philadelphia-kromosomiposiitivinen (Ph+). Philadelphia-kromosomiposiitivisuus tarkoittaa sitä, että kaksi potilaan kromosomia on järjestynyt uudelleen siten, että ne muodostavat erityisen Philadelphia-kromosomin. Kyseinen kromosomi tuottaa entsyymiä, BCR-ABL1-kinaasia, joka johtaa leukemian kehittymiseen.

Scemblixia annetaan potilaille, joita on aiemmin hoidettu kahdella tai useammalla tyrosiinikinaasin estäjäksi kutsutulla syöpälääkkeellä.

Krooninen myeloosin leukemia (KML) on harvinainen sairaus. Scemblix nimettiin 'harvinaislääkkeeksi' (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 24. maaliskuuta 2020. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä: https://www.ema.europa.eu/documents/orphan-designation/eu/3/20/2261-public-summary-opinion-orphan-designation-asciminib-treatment-chronic-myeloid-leukaemia_en.pdf

Scemblixin vaikuttava aine on askiminibi.

Miten Scemblix-valmistetta käytetään?

Scemblixia saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon aloittavan lääkärin tulee olla perehtynyt leukemian diagnosointiin ja hoitoon.

Lääkettä on saatavana tabletteina, jotka otetaan suun kautta kahdesti vuorokaudessa. Lääkäri voi keskeyttää hoidon ja pienentää annostusta, jos potilaalle ilmaantuu tiettyjä haittavaikutuksia. Hoito voidaan lopettaa, jos potilas ei siedä pienennetyllä annoksella annettua hoitoa.

Lisätietoa Scemblixin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Scemblix vaikuttaa?

Scemblixin vaikuttava aine askiminibi on tyrosiinikinaasin estäjä. Tämä tarkoittaa, että se estää tyrosiinikinaaseiksi kutsuttujen entsyymien toimintaa. Philadelphia-kromosomiposiitivisessa KML:ssä

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



elimistö tuottaa suuria määriä epänormaaleja valkosoluja. Scemblix estää erityisesti näiden solujen tuottaman BCR-ABL1-tyrosiinikinaasin toimintaa ja pysäyttää näin solujen jakautumisen ja kasvun.

Mitä hyötyä Scemblixista on havaittu tutkimuksissa?

Scemblixin hyötyä arvioitiin päätutkimuksessa, johon osallistui 233 kroonisessa vaiheessa olevaa Philadelphia-kromosomiposiitivista myelooista leukemiaa (Ph+ KML) sairastavaa aikuista, joita oli aiemmin hoidettu kahdella tai useammalla tyrosiinikinaasin estäjällä. Kyseisessä tutkimuksessa Scemblix oli tehokkaampi kuin bosutinibi (eräs toinen tyrosiinikinaasin estäjä): 24 viikkoa kestäneen hoidon jälkeen 25 prosentilla Scemblixia saaneista potilaista (40 potilaalla 157:stä) oli merkittävä molekulaarinen vaste (*BCR-ABL1*-geenin sisältävien solujen määrä oli vähentynyt 1 000 kertaa alle vakioidun lähtötilanteen), kun vastaava osuus bosutinibia saaneista oli 13 prosenttia (10 potilasta 76:sta). Yhteensä 96 viikkoa kestäneen hoidon jälkeen 38 prosentilla Scemblixia saaneista potilaista (59 potilasta 157:stä) ja 16 prosentilla bosutinibia saaneista potilaista (12 potilasta 76:sta) oli merkittävä molekulaarinen vaste.

Mitä riskejä Scemblixiin liittyy?

Scemblixin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin kahdelle potilaalle kymmenestä) ovat lihas-, luusto- tai nivelkipu, ylähengitysteiden (nenän ja nielun) infektiot, trombosytopenia (verihiutaleiden vähyys), väsymys, päänsärky, haimaentsyymipitoisuuksien suureneminen, vatsakipu, ripuli ja pahoinvointi.

Scemblixin yleisimmät vakavat haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat pleuraeffuusio (nesteen kertyminen keuhkoihin), alahengitystieinfektiot (keuhkojen infektiot, kuten keuhkoputkentulehdus tai keuhkokuume), trombosytopenia, kuume, haimatulehdus, rintakipu (joka ei liity sydämeen) ja oksentelu.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Scemblixin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Scemblix on hyväksytty EU:ssa?

Scemblixin on osoitettu vähentävän muita tyrosiinikinaasin estäjiä tehokkaammin *BCR-ABL1*-geeniä sisältävien solujen määrää potilailla, joita on aiemmin hoidettu kahdella tai useammalla tyrosiinikinaasin estäjällä. Turvallisuuden osalta Scemblixin haittavaikutukset ovat samanlaisia kuin tämän lääkeryhmän lääkkeillä, ja niitä pidetään hallittavina. Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Scemblixin hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Scemblixin turvallinen ja tehokas käyttö?

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

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

Muita tietoja Scemblixista

Lisää tietoa Scemblixista on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Scemblix