



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/684022/2021  
EMA/H/C/005467

## Voraxaze (*glukarpidaasi*)

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

### Mitä Voraxaze on ja mihin sitä käytetään?

Voraxaze on lääke, jota käytetään alentamaan metotreksaatin (syöpälääke) pitoisuutta veressä aikuisilla ja yli 28 päivän ikäisillä lapsilla, joiden elimistö ei pysty poistamaan metotreksaattia riittävän nopeasti tai joilla on metotreksaattitoksisuuden riski (jolloin metotreksaatti on haitallista kehon normaaleille soluille ja elimille).

Metotreksaattitoksisuus on harvinaista, ja Voraxaze nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 3. helmikuuta 2003. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-02-128](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-02-128).

Voraxazen vaikuttava aine on glukarpidaasi.

### Miten Voraxazea käytetään?

Voraxazea saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja sitä tulee käyttää terveydenhuollon ammattilaisen valvonnassa. Lääkevalmiste annetaan kertainjektiona laskimoon 48–60 tunnin kuluessa metotreksaattiinfuusion (tiputuksen) aloittamisesta, kun potilaalla on metotreksaattitoksisuuden riski (veren metotreksaattipitoisuuden perusteella).

Voraxazea käytetään metotreksaattitoksisuuden hoitoon yhdessä muiden lääkkeiden kanssa ja tukihoidon (esimerkiksi nesteiden antamiseen) yhdistettynä.

Lisätietoja Voraxazen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Miten Voraxaze vaikuttaa?

Metotreksaatti estää solujen kasvua häiritsemällä DNA:n tuotantoa. Tämä vaikuttaa etenkin nopeasti kasvaviin soluihin, kuten syöpäsoluihin. Metotreksaatista voi kuitenkin olla haittaa myös kehon normaaleille soluille ja elimille. Tätä haitallista vaikutusta kutsutaan metotreksaattitoksisuudeksi. Metotreksaattitoksisuus on hengenvaarallinen tila.

Voraxazen vaikuttava aine glukarpidaasi on proteiini, joka voi muuttaa metotreksaatin veressä vaarattomiksi aineiksi. Näin ollen metotreksaatin pitoisuus veressä vähenee ja toksisuuden riski

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



pienenee. Koska glukarpidaasi ei pääse solujen sisään, se ei estä metotreksaatin syöpää hoitavaa vaikutusta syöpäsoluissa.

## **Mitä hyötyä Voraxazesta on havaittu tutkimuksissa?**

Neljään tutkimukseen osallistui potilaita, joilla oli metotreksaattitoksisuuden riski. Tutkimuksissa Voraxazen todettiin olevan tehokas veren metotreksaattipitoisuuden kliinisesti merkittävän vähenemisen aikaansaamisessa (CIR, clinically important reduction) tasolle, jolla metotreksaattista ei ole haittaa. Tutkimuksiin osallistui 169 potilasta, joiden metotreksaattipitoisuus mitattiin suuritehoista nestekromatografiaa (HPLC) käyttäen vähintään kerran ensimmäisen Voraxaze-annoksen jälkeen. Voraxazea ei verrattu muihin hoitoihin.

Ensimmäiseen tutkimukseen osallistui potilaita, joilla oli metotreksaattitoksisuuden riski munuaisten vajaatoiminnan vuoksi tai siksi, että he olivat saaneet liikaa metotreksaattia intratekaalisesti (injektiona selkäydintä ympäröivään nesteeseen). Voraxaze-hoidon yhteydessä 24 potilaalla 28:sta (85,7 %) veren metotreksaattipitoisuus aleni tasolle, jolla väheneminen oli kliinisesti merkittävää.

Kahdessa tutkimuksessa oli mukana potilaita, joiden elimistö ei pystynyt poistamaan metotreksaattia munuaisten vajaatoiminnan vuoksi. Näissä tutkimuksissa 14 potilaalla 27:stä (51,9 %) ja 20 potilaalla 30:stä (66,7 %) Voraxaze-hoito alensi veren metotreksaattipitoisuutta kliinisesti merkittävästi.

Viimeisessä tutkimuksessa potilaille, joiden elimistö ei pystynyt puhdistamaan metotreksaattia munuaisten vajaatoiminnan vuoksi, annettiin Voraxazea yksinään tai yhdessä tymidiinin kanssa (toinen metotreksaattipitoisuutta vähentävä lääke). Näistä 46 potilaalla 84:stä (54,8 %) aikaansaatiin veren metotreksaattipitoisuuden kliinisesti merkittävää vähenemistä. Voraxazea ja tymidiinia saaneista potilaista 50 prosentilla aikaansaatiin veren metotreksaattipitoisuuden kliinisesti merkittävää vähenemistä, kun pelkkää Voraxazea saaneiden vastaava osuus oli 59,5 prosenttia.

Kaikissa neljässä tutkimuksessa metotreksaatin keskimääräinen pitoisuus laski 96,8–99,3 prosenttia 15 minuutissa ensimmäisen Voraxaze-annoksen antamisen jälkeen. Metotreksaatin pitoisuus pysyi muuttumattomana 8–15 vuorokautta.

## **Mitä riskejä Voraxazeen liittyy?**

Voraxazen yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään 1 potilaalle 10:stä) ovat polttava tunne, päänsärky, parestesia (puutumisen, kihelmöinnin ja pistelyn kaltaiset tuntemukset), punoitus ja kuumotus.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Voraxazen haittavaikutuksista ja rajoituksista.

## **Miksi Voraxaze on hyväksytty EU:ssa?**

Metotreksaatti on vakava, henkeä uhkaava sairaus. Sitä esiintyy, kun munuaiset eivät poista lääkettä riittävän hyvin ja kun lääkettä kertyy vereen ja muualle kehoon. Potilailla, joilla on metotreksaattitoksisuuden riski, Voraxaze laskee veren metotreksaattipitoisuutta nopeasti ja merkittävästi ja pitää pitoisuuden alhaisena enintään 15 päivän ajan lääkevalmisteiden antamisen jälkeen. Vaikka Voraxazen turvallisuudesta on vain vähän tietoa, Euroopan lääkevirasto katsoi, että yhden Voraxaze-annoksen jälkeen ilmenevät haittavaikutukset ovat hyväksyttäviä, kun otetaan huomioon metotreksaattitoksisuuden vakavuus. Näin ollen lääkevirasto katsoi, että Voraxazen hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Voraxaze on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Voraxazesta ei ole ollut mahdollista saada kattavia tietoja. Euroopan

lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

### **Mitä tietoja Voraxazesta odotetaan vielä saatavan?**

Koska Voraxazelle on annettu myyntilupa poikkeusolosuhteissa, Voraxazea markkinoiva yhtiö toimittaa lisätietoja lääkevalmisteen turvallisuudesta ja tehosta potilaille, joiden elimistö ei pysty poistamaan metotreksaattia riittävästi.

### **Miten voidaan varmistaa Voraxazen turvallinen ja tehokas käyttö?**

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

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Voraxazen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Voraxaze-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

### **Muita tietoja Voraxazesta**

Lisää tietoa Voraxazesta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voraxaze](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voraxaze).