



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/4229/2025  
EMA/H/C/005636

## Welireg (*beltsutifaani*)

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

### Mitä Welireg on ja mihin sitä käytetään?

Welireg on syöpälääke, jota käytetään seuraavien sairauksien hoitoon:

- aikuiset, joilla on pitkälle edennyt kirkassoluinen munuaissolukarsinoma (munuaissyövän tyyppi), joka on pahentunut huolimatta kahdesta tai useammasta aiemmasta hoidosta mukaan lukien PD-(L)1-inhibiittori ja vähintään kaksi VEGF-kohdennetun lääkkeen tyyppiä. "Edennyt" tarkoittaa, että syöpä on alkanut levitä.
- von Hippel-Lindaun (VHL) tautia sairastavat aikuiset, jotka tarvitsevat hoitoa tautiin liittyvään paikalliseen (yhdele kehon alueelle rajoittuneeseen) munuaissolukarsinomaan, keskushermoston hemangioblastoomaan (aivosyövän tyyppi) tai haiman neuroendokriinisiin kasvaimiin (haimasyövän tyyppi) ja joita ei voida leikata tai hoitaa paikallisesti. VHL-tauti on geneettinen sairaus, joka seurauksena tietyissä kehon osissa esiintyy kasvaimia ja kystia.

Weliregin vaikuttava aine on beltsutifaani.

### Miten Welireg-valmistetta käytetään?

Welireg on reseptivalmiste, ja hoidon saa aloittaa ainoastaan lääkäri, jolla on kokemusta syöpäpotilaiden hoidosta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa.

Welireg-valmistetta on saatavana tabletteina, jotka otetaan kerran vuorokaudessa suun kautta. Hoitoa jatketaan niin pitkään kuin potilas hyötyy siitä tai kunnes potilas saa haittavaikutuksia, joita ei voida hyväksyä.

Lisätietoja Weliregin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Miten Welireg vaikuttaa?

Weliregin vaikuttava aine beltsutifaani vaikuttaa estämällä hypoksiassa indusoituvan tekijän 2 alfan (HIF-2 $\alpha$ ) toimintaa. Se osallistuu solujen kasvuun, uusien verisuonten muodostumiseen ja syövän kasvuun. Estämällä tämän proteiinin toiminnan beltsutifaani voi estää uusien verisuonten muodostumisen ja siten katkaista syöpäsolujen kasvuun tarvittavan verensaannin, mikä hillitsee syövän 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](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



## Mitä hyötyä Welireg-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

### Edennyt kirkassoluinen munuaissolukarsinooma (RCC)

Päätutkimus osoitti, että Welireg oli pitkälle edenneen kirkassoluisen munuaissolukarsinooman hoidossa vähintään yhtä tehokas kuin toinen hyväksytty syöpälääke, everolimuusi.

Tutkimuksessa todettiin, että niistä 369 potilaasta, joiden sairaus oli pahentunut aiemmista hoidoista huolimatta, Welireg-valmistetta saaneet elivät noin 22 kuukautta, kun everolimuusia saaneet elivät noin 18 kuukautta. Lisäksi Welireg-valmistetta saaneet potilaat elivät keskimäärin 4,6 kuukautta ilman syövän pahenemista. Everolimuusia saaneiden vastaava aika oli 5,4 kuukautta.

### von Hippel-Lindaun (VHL) tautiin liittyvät kasvaimet

Päätutkimuksessa osoitettiin, että Welireg oli tehokas hoidettaessa potilaita, joilla oli tiettyjä VHL-sairauteen liittyviä kasvaimia.

Tehon pääasiallisena mittana oli niiden munuaissolukarsinoomaa sairastavien potilaiden osuus, joilla ei ollut merkkejä syövästä tai joiden syöpäkasvain pieneni Welireg-hoidon tuloksena. Tätä syöpää sairastaneista 61 potilaasta 41 (67 %) saavutti tämän vasteen, joka säilyi vähintään 18 kuukautta 29 potilaalla. Vaste havaittiin myös potilailla, joilla oli keskushermoston hemangioblastoomi ja haiman neuroendokriinisiä kasvaimia. Tutkimuksessa Welireg-valmistetta ei verrattu mihinkään muuhun hoitoon tai lumelääkkeeseen.

## Mitä riskejä Weliregiin liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Weliregin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Weliregin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat anemia (punasolujen alhainen määrä), väsymys, pahoinvointi, hengenahdistus (dyspnoea), huimaus ja happivajaus (hypoksia). Jotkin Weliregin haittavaikutukset voivat olla vakavia. Yleisimpiä haittavaikutuksia ovat happivajaus, anemia ja hengenahdistus, ja niitä voi esiintyä enintään yhdellä potilaalla kymmenestä.

Weliregin käyttö raskauden aikana voi aiheuttaa keskenmenon tai vakavaa haittaa kehittyvälle vauvalle. Tämän vuoksi Welireg-valmistetta ei saa antaa raskaana oleville naisille, joilla on von Hippel-Lindaun tautiin liittyviä kasvaimia, ja sitä saavat käyttää vain sellaiset raskaana olevat naiset, joilla on pitkälle edennyt kirkassoluinen munuaissolukarsinooma, jos lääkäri pitää sitä ehdottoman välttämättömänä. Naisten, jotka voivat tulla raskaaksi, on tehtävä raskaustesti ennen Welireg-hoidon aloittamista sen varmistamiseksi, etteivät he ole raskaana. Naisten on käytettävä tehokasta ehkäisyä ennen Welireg-hoitoa ja sen aikana sekä vähintään viikon ajan hoidon päättymisen jälkeen. Welireg voi vähentää hormonaalisen ehkäisyn tehokkuutta. Siksi von Hippel-Lindaun tautiin Welireg-hoitoa saavien naisten on käytettävä ei-hormonaalista ehkäisymenetelmää, kuten kondomia kumppanilla.

## Miksi Welireg on hyväksytty EU:ssa?

Hyväksynnän ajankohtana pitkälle edennyttä kirkassoluista munuaissolukarsinoomaa sairastavilla aikuisilla, joiden syöpä oli pahentunut kahdesta tai useammasta aiemmasta hoidosta huolimatta, oli vain vähän hoitovaihtoehtoja. Niitä olivat muun muassa syöpälääke nimeltä PD-(L)1:n estäjä ja vähintään kaksi VEGF-kohdennettua syöpälääkkeen tyyppiä. Päätutkimuksessa osoitettiin, että Welireg pidentää näillä potilailla elinaikaa ja viivästyttää sairauden pahenemista vähintään yhtä tehokkaasti kuin vertailulääke.

Myyntiluvan myöntämisen aikaan von Hippel-Lindaun tautia sairastaville aikuisille, jotka tarvitsivat hoitoa tautiin liittyviin kasvaimiin, ei ollut hyväksyttyä hoitoa. Vaikka näillä potilailla tehdyssä päätutkimuksessa ei verrattu Welireg-valmistetta toiseen syöpähoitoon tai lumelääkkeeseen, ja tutkimukseen osallistui vain vähän potilaita, tutkimus osoitti, että Welireg pienensi tehokkaasti syöpäkasvaimen kokoa tai poisti syövän merkkejä.

Turvallisuudesta todettakoon, että Welireg-valmisteen haittavaikutukset olivat tutkimuksissa hallittavissa. Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Weliregin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Weliregille annettiin ns. ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa, että sille on myönnetty myyntilupa tavanomaista suppeampien tietojen perusteella, koska kyseisessä käyttöaiheessa hoitovaihtoehtoja on vain vähän. Virasto arvioi, että varhaisemman markkinoille saattamisen hyöty on suurempi kuin käyttöön liittyvät riskit sinä aikana, kun lääkkeestä odotetaan lisänäyttöä.

Yhtiön on toimitettava lisätietoja Welireg-valmisteesta, kuten tulokset kahdesta meneillään olevasta tutkimuksesta, jotta varmistetaan Weliregin teho ja turvallisuus aikuisilla, joilla on tiettyjä VHL-tautiin liittyviä kasvaimia. Virasto arvioi vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot.

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

Welireg-valmistetta markkinoiva yhtiö toimittaa terveydenhuollon ammattilaisille oppaan ja potilaille tietokortin. Niissä kerrotaan vakavan haitan riskeistä kehittyvälle vauvalle, varotoimista raskauden välttämiseksi hoidon aikana ja toimista, jos nainen tulee raskaaksi hoidon aikana.

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

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

## **Muita tietoja Welireg-valmisteesta**

Lisätietoja Welireg-valmisteesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/welireg](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/welireg).