



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

28. helmikuuta 2025
EMA/77307/2025
EMA/H/C/006169

Lääkevalmisteen Kizfizo (temotsolomidi) myyntilupahakemuksen epääminen

Epääminen on vahvistettu uudelleenarvioinnissa

Euroopan lääkevirasto on alkuperäisen lausuntonsa uudelleenarvioinnin jälkeen vahvistanut suosituksensa evätä Kizfizo-valmisteen myyntilupa. Lääke oli tarkoitettu neuroblastoomaa, hermosolujen syöpää, sairastavien lasten hoitoon.

Uudelleenarvioinnin jälkeen virasto antoi asiasta lausunnon 27. helmikuuta 2025. Virasto oli antanut alkuperäisen lausuntonsa 14. marraskuuta 2024. Kizfizon myyntilupaa hakenut yhtiö on Orphelia Pharma.

Mitä Kizfizo on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Kizfizo kehitettiin syöpälääkkeeksi suuririskistä neuroblastoomaa sairastavien yli 1-vuotiaiden lasten hoitoon. Sitä oli tarkoitus käyttää yhdessä toisen syöpälääkkeen, joko irinotekaanin tai topotekaanin, kanssa

- lapsilla, joiden neuroblastooma ei ole parantunut solunsalpaajahoidolla (muita syövän hoitoon käytettäviä lääkkeitä)
- lapsilla, joiden sairaus on uusiutunut ja pahentunut aikaisemmin saadun solunsalpaajahoidon ja kantasolusiirron (hoito, jossa potilaan verta tuottavat solut korvataan) jälkeen.

Kizfizon vaikuttava aine on temotsolomidi, ja se kehitettiin ns. hybridilääkkeeksi. Tämä tarkoittaa, että se on samankaltainen kuin samaa vaikuttavaa ainetta sisältävä viitevalmiste, mutta valmisteiden välillä on tiettyjä eroja.

Viitevalmiste Temodalia on saatavana kapseleina tai jauheena, josta valmistetaan infuusioliuos (tiputusta varten). Kizfizo on neste, joka otetaan suun kautta tai nenä-mahaletkun kautta.

Kizfizo nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 21. elokuuta 2019 neuroblastooman hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [viraston verkkosivuilla](#).



Miten Kizfizo vaikuttaa?

Kizfizon vaikuttava aine temotsolomidi on alkyloiva aine. Elimistössä se muuttuu toiseksi yhdisteeksi nimeltä MTIC. MTIC muuttaa DNA:ta siten, että solujen jakautuminen estyy, jolloin ne kuolevat. Tämän vuoksi temotsolomidin odotetaan hidastavan neuroblastooman kasvua.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Viitevalmiste Temodal on hyväksytty toisen syövän (glioblastooman) hoitoon, mutta sitä on käytetty myös neuroblastooman hoitoon. Yhtiö teki tutkimuksen, jossa selvitettiin, onko Kizfizo biologisesti samanarvoinen Temodalin kanssa. Kaksi lääkettä ovat biologisesti samanarvoisia, kun ne saavat aikaan saman pitoisuuden vaikuttavaa ainetta elimistössä, jolloin niiden vaikutuksen odotetaan olevan samanlainen.

Yhtiö toimitti myös tulokset kliinisestä tutkimuksesta, johon osallistui 102 enintään 21-vuotiasta neuroblastoomaa sairastavaa potilasta, joille annettiin temotsolomidia yksinään ja yhdessä irinotekaanin tai topotekaanin kanssa. Tehon pääasiallisena mittana oli hoitovaste. Yhtiö tuki näitä havaintoja tuloksilla havainnoivasta tutkimuksesta, johon osallistui temotsolomidilla hoidettuja neuroblastoomaa sairastavia lapsia.

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan epäämiseen?

Virasto totesi, että sekä kliinisissä että havainnointitutkimuksissa (joissa ei verrattu temotsolomidia muihin hoitoihin) temotsolomidin ja irinotekaanin tai topotekaanin yhdistelmä sai aikaan hoitovasteen niin pienellä määrällä potilaita, että sen hyötyä potilaille ei voitu osoittaa. Temotsolomidin vaikutusta ei myöskään ollut mahdollista määrittää näistä tutkimuksista saatujen tietojen perusteella.

Näin ollen virasto katsoi, että Kizfizon hyötyjen ja riskien tasapainoa neuroblastoomaa sairastavien lasten hoidossa ei voitu vahvistaa.

Yhtiön pyynnöstä lääkevalmistekomitea arvioi saatavilla olevat tiedot uudelleen ja pyysi myös neuvoa asiantuntijaryhmältä, jota pyydettiin vastaamaan useisiin lääkkeen hyötyä koskeviin kysymyksiin. Koska komitean huolenaiheita ei saatu ratkaistua, alkuperäinen hylkäävä päätös vahvistettiin uudelleenarvioinnin jälkeen.

Vaikuttaako epääminen kliinisiin tutkimuksiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole seurauksia Kizfizo-valmisteen kliinisiin tutkimuksiin osallistuville potilaille.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, keskustele asiasta klinisen tutkimuksen lääkärin kanssa.