



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/612711/2022
EMA/H/C/004275

Crysvita (*burosumab*)

A Crysvita-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Crysvita és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Crysvita az X-hez kötött hipofoszfatémia, a vér alacsony foszfátszintjével (hipofoszfatémia) járó örökletes betegség kezelésére alkalmazott gyógyszer. A foszfát nélkülözhetetlen a csontok és a fogak felépítéséhez és az erősségük fenntartásához, ezért ezeknél a betegeknél angolkór vagy más csontdeformitás, illetve növekedési zavar jelentkezhethet. A Crysvita felnőtteknél, illetve ha a röntgenfelvételen csontbetegség jelei mutatkoznak, 1 és 17 év közötti gyermekeknél és serdülőknél is alkalmazható.

A Crysvita-t a foszfaturikus mesenchymális tumorok által okozott oszteomalácia (a csontok lágyulása és gyengülése) kezelésére is alkalmazzák. Ez a daganattípus hormonokat, különösen 23-as fibroblaszt növekedési faktor (FGF23) nevű anyagot termel, ami a szervezet foszfátvesztését okozza. A Crysvita-t 1 éves kortól alkalmazzák, amikor a daganat nem lokalizálható, illetve nem távolítható el műtéttel.

A Crysvita hatóanyaga a burosumab.

Mivel az említett betegségek „ritkának” minősülnek, ezért a Crysvita-t „ritka betegségek elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található ([X-hez kötött hipofoszfatémia](#): 2014. október 15.; [foszfaturikus mesenchymális tumorok](#): 2018. április 16.).

Hogyan kell alkalmazni a Crysvita-t?

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a szervezet kémiai folyamatainak megváltozása által okozott csontbetegségekben szenvedő betegek kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie.

A Crysvita-t bőr alá adott injekcióként alkalmazzák – a beteg életkorától függően – két- vagy négyhetente. Az ajánlott kezdő adag a kezelt betegségtől, valamint a beteg életkorától és testtömegétől függ. A dózist hozzá kell igazítani a beteg vérének foszfátszintjéhez is.

A Crysvita alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



© European Medicines Agency, 2022. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Hogyan fejti ki hatását a Crysvita?

A foszfátszintet nagyrészt a vesék szabályozzák, eltávolítva a felesleges foszfátot, illetve visszajuttatva azt a véráramba, amikor szükség van rá. Az X-hez kötött hipofoszfatémiában vagy tumor okozta oszteomaláciában szenvedő betegeknél kórosan magas az FGF23 szintje, ami megakadályozza a veséket abban, hogy a foszfátot visszajuttassák a véráramba.

A Crysvita egy monoklonális antitest (egyfajta fehérje), amelyet úgy terveztek, hogy felismerje az FGF23-fehérjét és kötődjön hozzá. Az FGF23-fehérjéhez kötődve a gyógyszer gátolja annak működését, ezáltal lehetővé teszi a vesék számára, hogy visszajuttassák a foszfátot a véráramba és helyreállítsák a vér normális foszfátszintjét.

Milyen előnyei voltak a Crysvita alkalmazásának a vizsgálatok során?

X-hez kötött hipofoszfatémia

A Crysvita csökkentette az angolkór (csontdeformitások) súlyosságát, amit az X-hez kötött hipofoszfatémiában szenvedő betegek röntgenfelvételei igazoltak.

A gyógyszert egy fő vizsgálatban, 52, 5 és 12 év közötti gyermek részvételével tanulmányozták. Minden gyermek két-, illetve négyhetente Crysvita-t kapott. A hatásosság fő mutatója a csukló és a térd angolkóros érintettségének súlyosságában bekövetkező csökkenés volt, egy 0-tól (normális) 10-ig (súlyos) terjedő skálán mérve. A Crysvita-t kéthetente kapó gyermekeknél az átlagos pontszám a kezelés előtt 1,9 volt, amely a 64 hetes kezelést követően 1,0 ponttal csökkent; a gyógyszert négyhetente kapó gyermekeknél a kezdeti 1,7-es pontszám 0,8 ponttal csökkent. Továbbá a vér foszfátszintje idővel mindkét csoportban javult, különösen a Crysvita-t kéthetente szedő betegeknél. Egy további, 13 fiatalabb gyermek részvételével végzett vizsgálat igazolta a Crysvita hatásosságát az 1 és 4 év közötti gyermekek esetében.

Egy másik vizsgálat a Crysvita alkalmazását 134 felnőttél vizsgálta. A betegek 24 hétig négyhetente Crysvita-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak, és a hatásosság fő mutatója a vér foszfátszintjének normalizálódása volt. A vizsgálat igazolta, hogy a Crysvita-t kapó betegek 94%-ánál normalizálódott a vér foszfátszintje, míg a placebót kapó betegeknél ez az arány 8% volt.

Tumor okozta oszteomalácia

A vizsgálatok igazolták, hogy a Crysvita növeli a vér foszfátszintjét és javítja a csont egészségét olyan, tumor okozta oszteomaláciában szenvedő felnőtteknél, akiknél a daganat nem lokalizálható vagy műtéti úton eltávolítható.

Az első vizsgálatban, amelyben 14, tumor okozta oszteomaláciában szenvedő felnőtt vett részt, körülbelül 6 hónapos kezelést követően 7 betegnél érték el normális foszfátszintet a vérben. Ezenfelül körülbelül egy év kezelés után a csontok egészségének javulását figyelték meg.

Egy második vizsgálatban, amelyben 13, tumor okozta oszteomaláciában szenvedő felnőtt vett részt, a vér foszfátszintje normál szintre emelkedett, és stabil maradt a vizsgálat során (legfeljebb 2,7 évig).

Az X-hez kötött hipofoszfatémiában szenvedő, 18 évnél fiatalabb betegekre vonatkozóan rendelkezésre álló adatok, valamint azon tény alapján, hogy mindkét betegséget az FGF23 magas szintje okozza, a Crysvita várhatóan a tumor okozta oszteomaláciában szenvedő gyermekeknél és serdülőknél is hatásos lesz.

Milyen kockázatokkal jár a Crysvita alkalmazása?

Gyermekeknél a Crysvita leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az injekció beadásának helyén fellépő reakciók (köztük a bőrpír, viszketés, kiütés, fájdalom és véraláfutás), köhögés, fejfájás, láz, végtagfájdalom, hányás, fogtályog, csökkent D-vitaminszint, hasmenés, kiütés, hányinger, székrekedés, fogszuvasodás és az izomfájdalom.

Felnőtteknél a leggyakoribb mellékhatások (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a hátfájás, az injekció beadásának helyén fellépő reakciók, fejfájás, fogfertőzés, nyugtalan láb szindróma, izomgörcsök, székrekedés, csökkent D-vitaminszint és a szédülés.

Szájon át adandó foszfát- és aktív D-vitaminkészítményeket (például kalcitriolt) nem szabad a Crysvita-kezeléssel egyidőben alkalmazni. A Crysvita nem alkalmazható magas vérfoszfátszinttel rendelkező vagy súlyos vesebetegségben szenvedő betegek esetében sem.

A Crysvita alkalmazásával kapcsolatban jelentett mellékhatások és korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Crysvita forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Crysvita az X-hez kötött hipofoszfatémiában szenvedő gyermekeknél igazoltan csökkenti a csukló és a térd csontdeformitásainak súlyosságát és növeli a vér foszfátszintjét. A gyógyszer felnőtteknél is hatásosan javította a vér foszfátszintjét. A Crysvita továbbá jótékony hatást gyakorolt a foszfátszintre és a csont egészségére a tumor okozta oszteomaláciában szenvedő betegeknél. A gyógyszer mellékhatásait kezelhetőnek tartják. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Crysvita alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Crysvita biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Crysvita biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Crysvita alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Crysvita alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Crysvita-val kapcsolatos egyéb információ

2018. február 19-én a Crysvita az Európai Unió egész területére érvényes feltételes forgalombahozatali engedélyt kapott. A feltételes engedély 2022. szeptember 21-én teljes érvényű forgalombahozatali engedéllyé vált.

A Crysvita-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/crysvita

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 09-2022.