



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100087/2023
EMA/H/C/005896

Hyftor (szirolimusz)

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

Milyen típusú gyógyszer a Hyftor és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Hyftor a komplex szklerózis tuberóza nevű genetikai betegség által okozott, az arcot érintő jóindulatú (nem rákos) bőrdaganatok (ún. faciális angiofibromák) kezelésére szolgáló gyógyszer. Felnőtteknél és 6 éves vagy idősebb gyermekeknél alkalmazzák.

Mivel a komplex szklerózis tuberóza „ritkának” minősül, ezért a Hyftor-t 2017. augusztus 23-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Hyftor „hibrid gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy hasonló egy „referencia-gyógyszerhez” abban a tekintetben, hogy ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza, de a Hyftor-t eltérő módon alkalmazzák. Míg a referencia-gyógyszert, a Rapamune-t szájon át kell alkalmazni (tabletta vagy szájon át alkalmazandó folyadék), a Hyftor a bőrön alkalmazandó gél formájában kapható.

A Hyftor hatóanyaga a szirolimusz.

Hogyan kell alkalmazni a Hyftor-t?

A Hyftor csak receptre kapható, és gél formájában kerül forgalomba, amelyet naponta kétszer kell felvinni az arc angiofibroma által érintett területeire. Ha a kezelés nem hatásos, 12 hét elteltével le kell állítani.

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

Hogyan fejti ki hatását a Hyftor?

Nem teljesen tisztázott, hogy a Hyftor pontosan hogyan fejti ki hatását a komplex szklerózis tuberózához társuló faciális angiofibroma kezelésében. A Hyftor hatóanyaga, a szirolimusz az „emlős rapamicin-célpont” (mTOR) nevű enzim gátlása révén fejti ki hatását. Ez az enzim a sejtosztódás szabályozásában vesz részt, és fokozott aktivitást mutat komplex szklerózis tuberózában szenvedő



betegknél a daganatos sejtekben. Az mTOR gátlásával a sziriolimusz leállítja a daganatsejtek osztódását, ami várhatóan csökkenti a betegséghez társuló bőrdaganatok növekedését.

Milyen előnyei voltak a Hyftor alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálat, amelyben a komplex szklerózis tuberózához társuló faciális angiofibromában szenvedő felnőttek és 6 éves vagy idősebb gyermekek vettek részt, azt mutatta, hogy a Hyftor hatásosan enyhíti a faciális angiofibroma tüneteit. 12 hét elteltével az arcot érintő angiofibromák mérete és vörösségének mértéke a Hyftor-t használó 30 beteg közül 18-nál (60%) csökkent vagy jelentősen csökkent, míg a placebo gél (hatóanyag nélküli kezelést) kapott 32 beteg közül egynél sem (0%).

Milyen kockázatokkal jár a Hyftor alkalmazása?

A Hyftor alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Hyftor leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az alkalmazás helyén fellépő irritáció, a bőrszárazság, az akné és a viszketés.

Miért engedélyezték a Hyftor forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Hyftor felnőtteknél és 6 éves vagy idősebb gyermekeknél csökkentette a komplex szklerózis tuberózához társuló faciális angiofibromák méretét és vörösségét, ami lényeges előnynek tekinthető. A gyógyszer biztonságossági profilját elfogadhatónak tartják. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Hyftor alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

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

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

A Hyftor-ral kapcsolatos egyéb információ

A Hyftor-ral kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hyftor.