



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMADOC-1829012207-42319
EMA/H/C/002695

Iclusig (*ponatinib*)

Az Iclusig-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Iclusig és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Iclusig egy daganatellenes gyógyszer, amelyet felnőtteknél a leukémia (a fehérvérsejtek daganatos betegsége) alábbi típusainak kezelésére alkalmaznak:

- krónikus mieloid leukémia (CML) a betegség bármely stádiumában (krónikus, akcelerált vagy blasztos fázis), ha a dazatinib- vagy nilotinib-kezelés (daganatellenes gyógyszerek) nem volt hatásos, vagy ha ezek a gyógyszerek mellékhatások miatt nem alkalmazhatók, és az imatinib (daganatellenes gyógyszer) nem megfelelő, illetve ha a *BCR-ABL1* gén T315I mutációnak nevezett elváltozást mutat;
- akut limfoblasztos leukémia (ALL), ha a daganat Philadelphia-kromoszóma-pozitív (Ph+). A Ph+ azt jelenti, hogy a beteg egyes génjei átrendeződtek, egy kóros kromoszómát hozva létre, ami leukémia kialakulásához vezet. Az Iclusig-ot akkor alkalmazzák, ha a dazatinib-kezelés nem hatásos, vagy ha a dazatinib mellékhatások miatt nem alkalmazható, és az imatinib nem megfelelő, illetve ha a *BCR-ALB1* gén T3151 mutációnak nevezett elváltozást mutat;
- újonnan diagnosztizált, akut limfoblasztos leukémia, amennyiben a daganat Ph+. Az Iclusig-ot csökkentett intenzitású kemoterápiával együtt alkalmazzák, amely kevésbé toxikus, mint a hagyományos kemoterápia.

Az Iclusig hatóanyaga a ponatinib.

Hogyan kell alkalmazni az Iclusig-ot?

Az Iclusig csak receptre kapható, és a kezelést kizárólag a leukémia diagnosztizálásában és kezelésében tapasztalt orvos kezdheti meg.

Az Iclusig szájon át, naponta egyszer alkalmazandó tablettá formájában kapható. A kezelés addig folytatható, amíg az a beteg számára előnyös. Amennyiben a betegnél bizonyos súlyos mellékhatások jelentkeznek, a kezelőorvos dönthet úgy, hogy csökkenti az adagot, illetve átmenetileg vagy véglegesen leállítja a kezelést. Az újonnan diagnosztizált Ph+ ALL-ben szenvedő betegeknek először csökkentett intenzitású kemoterápiával együtt, majd önmagában kell adni az Iclusig-ot.

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



Mivel az Iclusig az artériákban és a vénákban vérrögösödést vagy elzáródást okozhat, a kezelés megkezdése előtt és a kezelés alatt a kezelőorvosnak fel kell mérnie a beteg szívének és vérereinek egészségi állapotát. Artéria vagy véna elzáródása esetén a kezelést azonnal le kell állítani.

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

Hogyan fejti ki hatását az Iclusig?

Az Iclusig hatóanyaga, a ponatinib, a „tirozin-kináz inhibitorok” elnevezésű gyógyszercsoportba tartozik. Ezek a vegyületek a tirozin-kináz néven ismert enzimek gátlásával fejtik ki hatásukat. A ponatinib a BCR-ABL nevű tirozin-kináz gátlásával fejti ki hatását. Ez az enzim a leukémiasejtek felületén található, ahol a sejtek kontrollálatlan osztódásának stimulálásában játszik szerepet. A BCR-ABL gátlása révén az Iclusig segít kontrollálni a leukémiasejtek növekedését és szaporodását.

Milyen előnyei voltak az Iclusig alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Iclusig-ot egy fő vizsgálatban tanulmányozták, amelybe 449, CML-ben vagy Ph+ ALL-ben szenvedő beteget vontak be, akik nem tolerálták a dasatinib- vagy nilotinib-kezelést, vagy nem reagáltak azokra, illetve T315I mutációt hordoztak. A vizsgálatban az Iclusig-ot nem hasonlították össze más kezeléssel. A kezelésre adott választ a jelentős hematológiai választ (ha a fehérvérsejtek száma visszatér a normális szintre vagy a leukémia jelenléte nem igazolható) vagy jelentős citogenetikai választ (ha a Philadelphia-kromoszómát tartalmazó fehérvérsejtek aránya 35% alá csökken) adó betegek arányával mérték.

A vizsgálat eredményei szerint az Iclusig-kezelés klinikailag releváns válaszreakciót eredményezett a betegek mindegyik csoportjában. A krónikus fázisban lévő CML-betegek mintegy 54%-a (267-ből 144) adott jelentős citogenetikai válaszreakciót. Az akcelerált fázis esetében a betegek körülbelül 58%-a (83-ből 48), míg a blasztos fázisban körülbelül 31%-a (62-ből 19) adott jelentős hematológiai válaszreakciót. A Ph+ ALL-ben szenvedő betegek körülbelül 41%-a (32-ből 13) adott jelentős hematológiai válaszreakciót.

Egy, 245 felnőtt bevonásával végzett fő vizsgálat azt mutatta, hogy az Iclusig csökkentett intenzitású kemoterápiával kombinálva hatásos a Ph+ ALL kezelésében. Ebben a vizsgálatban a résztvevők csökkentett intenzitású kemoterápiát kaptak Iclusig-gal vagy imatinibbel (egy másik tirozin-kináz inhibitorral) együtt.

A hatásosság fő mutatója azon résztvevők aránya volt, akiknél teljes válasz (a daganatnak nem volt kimutatható jele) alakult ki, és nem maradt fenn minimális reziduális betegség (amikor a kezelést követően nagyon kevés daganatsejt marad a szervezetben). Az Iclusig-gal és csökkentett intenzitású kemoterápiával végzett indukciós kezelés végén a résztvevők mintegy 34%-ánál (154-ből 53-nál) alakult ki teljes válasz minimális reziduális betegség nélkül, szemben az imatinibbel és csökkentett intenzitású kemoterápiával kezelt résztvevők mintegy 17%-ával (78-ből 13). Még nem állt rendelkezésre információ arról, hogy a betegek összességében mennyi ideig éltek.

Milyen kockázatokkal jár az Iclusig alkalmazása?

Az Iclusig alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Iclusig leggyakoribb súlyos mellékhatásai (100 beteg közül több mint 2-nél jelentkezhet) a tüdőgyulladás (tüdőfertőzés), a pankreatitisz (hasnyálmirigy-gyulladás), a láz, a hasi fájdalom, a miokardiális infarktus (szívroham), a pitvarfibrilláció (a szív felső kamráinak szabálytalan és koordinálatlan összehúzódásai), a perifériás artériás okkluzív betegség (az artériákban a véráramlással kapcsolatos probléma), a vérszegénység (alacsony vörösvérsejtszám), az angina pectorisz (mellkas-, állkapocs- és hátfájdalom a szív felé irányuló vérkeringés problémái miatt), a vérlemezkék (a véralvadást elősegítő elemek) csökkent vérszintje, a lázas neutropénia (a fehérvérsejtek egy típusának, a neutrofileknek az alacsony szintjével járó láz), a magas vérnyomás, a koszorúér-betegség (a szívizmot ellátó erek szűkülete vagy elzáródása által okozott szívbetegség), a pangásos szívelégtelenség (amikor a szív nem működik megfelelően), a cerebrovaszkuláris esemény (sztrók), a szepszis (amikor baktériumok és toxinjaik a vérben keringenek, ami szervkárosodáshoz vezet), a cellulitisz (a bőr mély rétegeiben található szövetek gyulladása), az akut vesekárosodás, a húgyúti fertőzés, valamint a megnövekedett lipázszint (egy enzim).

Artéria-okklúzió (az artériák vérrögösödése vagy elzáródása) 5 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet, súlyos artéria-okklúzió pedig 5 beteg közül 1-et érinthet. Súlyos vénaokklúzió (a vénák vérrögösödése vagy elzáródása) 20 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet. Vénás tromboembóliás reakciók (a vénákban kialakuló vérrögök okozta problémák) 10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhetnek.

Miért engedélyezték az Iclusig forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Iclusig alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, és így a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető. Az Iclusig hatásos kezelésnek bizonyult azon CML-ben vagy Ph+ ALL-ben szenvedő betegek számára, akiknél korlátozottak a kezelési lehetőségek.

A biztonságosságot illetően megállapítható, hogy az Iclusig alkalmazásával járó mellékhatások nagyjából hasonlóak voltak a többi tirozin-kináz inhibitoréhoz, valamint, hogy a mellékhatásokat az adag csökkentésével vagy a beadás késleltetésével többnyire kezelni lehetett. Fennáll az Iclusig alkalmazása mellett az artériák vagy a vénák vérrögösödéséből vagy elzáródásából eredő problémák, például a szívroham és a sztrók kockázata. Ez a kockázat csökkenthető az olyan állapotok azonosításával és kezelésével, amelyek hozzájárulhatnak a kockázathoz, a kezelés előtt és alatt egyaránt. Ezen állapotok közé tartozik a magas vérnyomás és a megemelkedett koleszterinszint.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Iclusig biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Iclusig-ot forgalmazó vállalatnak be kell nyújtania egy, újonnan diagnosztizált Ph+ ALL-ben szenvedő betegekkel végzett vizsgálat végleges eredményeit a gyógyszer biztonságosságának és hatásosságának megerősítése érdekében.

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

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

Az Iclusig-gal kapcsolatos egyéb információ

2013. július 1-jén az Iclusig az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

Az Iclusig-gal kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/clusig>.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 03-2026.