



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/543934/2024
EMA/H/C/002464

Jakavi (*ruxolitinib*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Jakavi és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Jakavi-t az alábbi betegségek kezelésére alkalmazzák:

- Lépmegnagyobbodás vagy egyéb, betegséggel kapcsolatos tünetek, például láz, éjszakai verejtékezés, csontfájdalom és testsúlycsökkenés mielofibrózisban szenvedő felnőtteknél. A mielofibrózis olyan betegség, amelyben a csontvelő nagyon sűrűvé és merevvé válik, és rendellenes, éretlen vérsejteket termel.
- Policitémia vera olyan felnőtteknél, akiknél a hidroxikarbamid (más néven hidroxiurea) nevű gyógyszer nem hatásos vagy elfogadhatatlan mellékhatásokat okoz. A policitémia vera a vörösvértestek túlzott termelődésével jár, ami a vér „besűrűsödése” miatt a szervekbe áramló vér mennyiségének csökkenését és alkalmanként vérrögök kialakulását okozhatja.
- akut graft-versus-host betegség (GvHD, amikor a donorsejtek rövid idővel transzplantáció után megtámadják a szervezetet) olyan felnőtteknél és 28 napos vagy idősebb gyermekeknél, akiknél a kortikoszteroidok vagy más szisztémás kezelések (szájon át vagy injekcióban adott kezelések) nem voltak elég hatásosak;
- krónikus graft-versus-host betegség (amely általában az akut GvHD-nél később alakul ki, az átültetést követő néhány héten vagy hónapon belül) felnőtteknél és 6 hónapos vagy idősebb gyermekeknél, akiknél a kortikoszteroidok vagy más szisztémás kezelések nem voltak elég hatásosak.

A Jakavi hatóanyaga a ruxolitinib.

Hogyan kell alkalmazni a Jakavi-t?

A Jakavi csak receptre kapható, és a kezelést kizárólag a daganatellenes gyógyszerekkel kezelt betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvos kezheti meg.

A Jakavi tabletta és szájon át szedett oldat formájában kapható, amelyeket naponta kétszer kell bevenni. Az ajánlott adag a kezelt betegségtől függ.

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



Bizonyos mellékhatások jelentkezése esetén az adagot csökkenteni kell, illetve a kezelést le kell állítani.

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

Hogyan fejti ki hatását a Jakavi?

A Jakavi hatóanyaga, a ruxolitinib a vérsejtek termelésében és növekedésében részt vevő, Janus-kinázok (JAK-ok) néven ismert enzimsorozat gátlása útján fejti ki hatását. Mielofibrózisban és policitémia verában a JAK-ok túlműködnek, ami a vérsejtek rendellenes termelődését idézi elő. Ezek a vérsejtek különféle szervekhez, köztük a léphez vándorolnak, a szervek megnagyobbodását okozva. A JAK-ok részt vesznek az immunrendszer (a szervezet természetes védekezőrendszere) azon sejtjeinek fejlesztésében és aktiválásában is, amelyek szerepet játszanak a GvHD-ben. A JAK-ok gátlása révén a ruxolitinib hozzájárul a gyulladás csökkentéséhez, ezáltal enyhíti az akut és krónikus GvHD tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Jakavi alkalmazásának a vizsgálatok során?

Mielofibrózis

Az 528 felnőtt beteg részvételével végzett két fő vizsgálatban a Jakavi hatékonyabban csökkentette a lép méretét, mint a placebo (hatóanyag nélküli kezelés) és a rendelkezésre álló legjobb kezelés. Az első vizsgálatban a lép méretének 6 hónap alatti 35%-os csökkentésére irányuló célt a Jakavi-val kezelt betegek 42%-ánál (155 közül 65-nél) érték el, szemben a placebót kapó betegek kevesebb mint 1%-ával (153 közül 1). A második vizsgálatban a lép méretének egy év utáni 35%-os csökkentésére irányuló célt a Jakavi-val kezelt betegek 29%-ánál (144-ből 41-nél) érték el, míg a rendelkezésre álló legjobb kezelést, például daganatellenes gyógyszereket, hormonokat és immunszuppresszánsokat kapó 72 beteg közül egyiknél sem.

Policitémia vera

A Jakavi javította a betegek állapotát egy fő vizsgálatban, amelyben 222 olyan felnőtt beteg vett részt, akiknél a hidroxikarbamid nem volt hatásos vagy elfogadhatatlan mellékhatásokat okozott. A javulást az jelentette, ha egynél kevesebb flebotómiai kezelésre (a felesleges vér szervezetből történő kiürítésére szolgáló kezelés) volt szükség és a lép mérete legalább 35%-kal csökkent. Ebben a vizsgálatban a Jakavi-val kezelt betegek 21%-ánál (110 közül 23-nál) mutatkozott javulás 8 hónapos kezelést követően, szemben a rendelkezésre álló legjobb kezelést kapó betegek 1%-ával (112 közül 1-nél).

Graft-versus-host betegség

A Jakavi hatásosan csökkentette mind az akut, mind a krónikus graft-versus-host betegség tüneteit felnőttknél és 12 éves és idősebb serdülőknél két fő vizsgálatban.

Az első vizsgálatban 309 olyan felnőtt és legalább 12 éves serdülő vett részt, akik allogén őssejt-transzplantáció miatt akut GvHD-ben szenvedtek (donortól származó őssejteket használva). Az akut GvHD kortikoszteroid-terápiája ezekben a betegeknél nem volt hatásos. A vizsgálatban azon betegek arányát tanulmányozták, akiknél a Jakavi-val végzett 4 hetes kezelést, illetve a betegségük kezelésére rendelkezésre álló legjobb kezelést követően a tünetek csökkentek (részleges válasz) vagy tünetmentesek voltak (teljes válasz). Az eredmények azt mutatták, hogy a Jakavi-val kezelt betegek 62%-a (154-ből 96) adott teljes vagy részleges választ a kezelésre, szemben az egyéb kezelésben részesült betegek 39%-ával (155-ből 61).

A második vizsgálatban 329 felnőtt és legalább 12 éves serdülő vett részt, akiknél allogén őssejt-transzplantáció miatt krónikus GvHD volt jelen. A krónikus GvHD kortikoszteroid-terápiája ezeknél a betegeknél nem volt hatásos. 24 hetes kezelést követően a Jakavi-t kapó betegek 50%-ánál (165-ből 82-nél) alakult ki teljes vagy részleges válasz, szemben a betegségük miatt elérhető legjobb kezelést kapó betegek 26%-ával (164-ből 42-nél).

Az arra vonatkozó adatok, hogy a Jakavi hogyan viselkedik a szervezetben, azt igazolták, hogy amikor a gyógyszert 12 évesnél fiatalabb gyermekeknél alkalmazzák az ajánlott adagban az akut és krónikus GvHD kezelésére, hasonló vérszinteket eredményez a felnőtteknél tapasztaltakhoz.

Milyen kockázatokkal jár a Jakavi alkalmazása?

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

Mielofibrózis esetében a Jakavi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az alacsony vérlemezkeszám (trombocitopénia), alacsony vörösvértestszám (anémia), alacsony neutrofilszint (neutropénia), vérzés, véraláfutás, magas vérzsírszint (hipertrigliceridémia), szédülés és az emelkedett májenzimszintek.

Policitémia vera esetében a Jakavi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az alacsony vérlemezkeszám, alacsony vörösvértestszám, testsúlygyarapodás, fejfájás, szédülés, magas koleszterinszint (hiperkoleszterolémia) és az emelkedett májenzimszintek.

Az akut GvHD esetében felnőtteknél és serdülőknél a Jakavi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a trombocitopénia, a vérszegénység, a neutropénia, valamint az alanin-aminotranszferáz és az aszpartát-aminotranszferáz májenzimek megnövekedett szintje. A Jakavi leggyakoribb mellékhatásai serdülőknél és gyermekeknél (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a trombocitopénia, anémia, neutropénia, hiperkoleszterinémia és az alanin-aminotranszferáz emelkedett szintje.

Krónikus GvHD esetében a Jakavi leggyakoribb mellékhatásai felnőtteknél és serdülőknél (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a vérszegénység, a hiperkoleszterinémia és a megnövekedett aszpartát-aminotranszferázszint. Gyermekeknél és serdülőknél a leggyakoribb mellékhatások (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a neutropénia, a hiperkoleszterinémia és a megnövekedett alanin-aminotranszferázszint.

Várandós vagy szoptató nők nem szedhetik a Jakavi-t.

Miért engedélyezték a Jakavi forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Jakavi alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Mielofibrózis esetében a Jakavi-t szedő betegeknél klinikailag jelentős a lép méretének csökkenése és a tünetek mérséklődése, valamint javul a betegek életminősége. Ami a policitémia verát illeti, az Ügynökség úgy vélte, hogy a Jakavi előnyös azon betegek számára, akiknél a hidroxikarbamiddal végzett kezelés nem hatásos vagy elfogadhatatlan mellékhatásokat okoz. A graft-versus-host betegség kezelése során kimutatták, hogy a Jakavi csökkenti a tüneteket felnőtteknél és 12 évesnél idősebb serdülőknél. A gyógyszer működése alapján az akut és krónikus GvHD kezelésére vonatkozó hatásossága és biztonságossági profilja fiatalabb gyermekeknél várhatóan megegyezik a felnőttekével.

A biztonságosságot illetően az Ügynökség úgy vélte, hogy a Jakavi mellékhatásai megfelelően kezelhetők.

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

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

A Jakavi-val kapcsolatos egyéb információ

2012. augusztus 23-án a Jakavi az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Jakavi-val kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/jakavi.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 12-2024.