



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244286/2021
EMA/H/C/005244

Koselugo (*szelumetinib*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Koselugo és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Koselugo-t a 3. életévüket betöltött, I-es típusú neurofibromatózisban (NF1) szenvedő gyermekek tünetekkel járó, műtéti úton nem eltávolítható plexiform neurofibromáinak, az idegek mentén található jóindulatú (nem rákos) daganatok kezelésére alkalmazzák.

Mivel az NF1 „ritkának” minősül, ezért a Koselugo-t 2018. július 31-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050.

A Koselugo hatóanyaga a szelumetinib.

Hogyan kell alkalmazni a Koselugo-t?

A Koselugo kapszula formájában, csak receptre kapható. A kezelést az NF1-gyel összefüggő daganatok diagnosztizálásában és kezelésében tapasztalt orvosnak kell megkezdenie.

A Koselugo javasolt adagját a beteg testmagassága és testtömege alapján kell kiszámítani. A gyógyszert naponta kétszer, körülbelül 12 órás időközönbséggel, éhgyomorra kell bevenni. A gyógyszer nem adható olyan betegeknek, akik nem tudják egészben lenyelni a kapszulát.

A Koselugo-kezelés előtt és alatt a kezelőorvos ellenőrizni fogja, hogy mennyire működik jól a beteg szíve, szeme és mája. A kezelést addig kell folytatni, amíg a beteg állapota javul vagy stabil marad, és a mellékhatások tolerálhatók. Bizonyos mellékhatások jelentkezése esetén a kezelőorvos az adag csökkentése mellett dönthet, illetve átmenetileg vagy véglegesen leállíthatja a kezelést.

A Koselugo 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



Hogyan fejti ki hatását a Koselugo?

A Koselugo hatóanyaga, a szelumetinib, gátolja a MEK1 és MEK 2 (MEK1/2) nevű enzimeket, amelyek részt vesznek a sejtek növekedésének serkentésében. NF1 esetén a MEK1/2 enzimek túlműködnek, ami a tumorsejtek kontrollálatlan növekedését eredményezi. Ezeknek az enzimeknek a gátlásával a Koselugo hozzájárul a daganatsejtek növekedésének lassításához.

Milyen előnyei voltak a Koselugo alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálat azt igazolta, hogy a Koselugo az NF1-ben szenvedő gyermekeknél hatékonyan kezeli a plexiform neurofibromákat azáltal, hogy csökkenti ezen tumorok méretét. A vizsgálatban az NF1-ben szenvedő, műtéti úton nem eltávolítható plexiform neurofibromákat mutató, 3 éves vagy idősebb gyermekek 66%-ánál (50-ből 33-nál) a tumor mérete legalább 20%-kal csökkent. A vizsgálatban a Koselugo-t nem hasonlították össze más gyógyszerekkel.

Milyen kockázatokkal jár a Koselugo alkalmazása?

A Koselugo leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 4-nél jelentkezhet) a hányás, kiütés, emelkedett kreatin-foszfokináz (az izom károsodásakor a vérbe kerülő enzim) szint, hasmenés, hányinger, aszténiás események (gyengeség), száraz bőr, láz, aknészerű kiütés, hypoalbuminémia (az albumin, egy vérfehérje alacsony szintje), emelkedett aszpartát-aminotranszferáz (lehetséges májproblémát jelző enzim) és körömágyi fertőzés.

A Koselugo leggyakoribb súlyos mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a hasmenés, vérszegénység (alacsony vörösvérsejtszám), láz, emelkedett kreatin-foszfokináz szint és emelkedett kreatininszint a vérben (veseproblémák jele).

A Koselugo nem alkalmazható súlyos májbetegségben szenvedő betegeknél.

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

Miért engedélyezték a Koselugo forgalomba hozatalát az EU-ban?

A plexiform neurofibromák torzulást, mozgási nehézségeket, fájdalmat és idegproblémákat okozhatnak. Műtéti úton nem eltávolítható plexiform neurofibromákat mutató gyermekek esetében nincs engedélyezett kezelési lehetőség, ezért jelentős kielégítetlen gyógyászati igény áll fenn. A Koselugo hatásosnak bizonyult a daganat méretének csökkentésében ilyen, 3 éves és idősebb gyermekeknél. A vizsgálatba bevont gyermekek száma a betegség alacsony előfordulási aránya miatt alacsony volt. Bár a biztonságossági adatok korlátozottak voltak, arra utalnak, hogy a Koselugo mellékhatásai kezelhetőek. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Koselugo alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Koselugo-t „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyek benyújtására kötelezték a vállalatot. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Koselugo-val kapcsolatban?

Mivel a Koselugo forgalomba hozatalát feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték, a gyógyszert forgalmazó vállalat további információkat fog benyújtani két folyamatban lévő vizsgálatból,

amelyek célja a Koselugo előnyeinek és biztonságosságának igazolása 3 éves és idősebb, NF1-ben szenvedő gyermekeknél. A vállalat egy harmadik vizsgálatot is el fog végezni gyermekekkel, hogy további információkkal szolgáljon a gyógyszer hosszú távú biztonságosságáról.

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

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

A Koselugo-val kapcsolatos egyéb információ

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