



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/159423/2023  
EMA/H/C/005130

## Pedmarqsi (*nátrium-tioszulfát*)

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

### **Milyen típusú gyógyszer a Pedmarqsi és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Pedmarqsi-t 1 hónapos és kevesebb mint 18 éves kor közötti gyermekeknél alkalmazzák a nem áttétes, szolid tumorok kezelésére alkalmazott ciszplatin nevű daganatellenes gyógyszer által okozott hallássérülés kockázatának csökkentésére.

A Pedmarqsi hatóanyaga a nátrium-tioszulfát.

### **Hogyan kell alkalmazni a Pedmarqsi-t?**

A Pedmarqsi csak receptre kapható, és kórházban, megfelelően képzett orvos felügyelete mellett kell beadni. A gyógyszert 15 percig tartó vénás infúzióban kell beadni, pontosan 6 órával azután, hogy a beteg ciszplatint kapott.

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

### **Hogyan fejti ki hatását a Pedmarqsi?**

A Pedmarqsi hatásmechanizmusa nem teljesen ismert, de a nátrium-tioszulfát hatóanyag vélhetően azáltal fejti ki hatását, hogy a sejtek által fel nem vett ciszplatinhoz kötődik és gátolja a hatását, valamint megelőzi az oxigén-szabadgyökök néven ismert molekulák által okozott sejtkárosodást. Ezek a kombinált hatások várhatóan segítenek megvédeni a fület a ciszplatin okozta hallássérüléstől.

### **Milyen előnyei voltak a Pedmarqsi alkalmazásának a vizsgálatok során?**

Két vizsgálat azt mutatta, hogy a Pedmarqsi csökkentette a hallássérülés kockázatát 1 hónapos és 18 éves kor közötti gyermekeknél, akik szolid tumorok kezelésére ciszplatint kaptak.

Az első vizsgálatban 114, hepatoblasztómában (májdaganat) szenvedő gyermek vett részt, akiknek az átlagéletkora körülbelül 19 hónap volt. Az eredmények azt mutatták, hogy a ciszplatin minden egyes adagja után 6 órával Pedmarqsi-t kapó gyermekek 35%-ánál (57-ből 20) történt hallássérülés, míg a csak ciszplatint kapó gyermekeknél ez az arány 67% (52-ből 35) volt.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



A második vizsgálatban 125, 1 hónap és 18 év közötti, különböző típusú daganatos betegségekben, így hepatoblasztómában, neuroblasztómában (az éretlen idegsejtek daganata) és a központi idegrendszer daganataiban szenvedő gyermek vett részt. A vizsgálat azt mutatta, hogy a ciszplatin egyes adagjai után Pedmarqsi-t kapó gyermekek 29%-ánál (49-ből 14-nél) fordult elő hallássérülés, szemben a kizárólag ciszplatin-t kapó gyermekek 56%-ával (55-ből 31).

## **Milyen kockázatokkal jár a Pedmarqsi alkalmazása?**

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

A Pedmarqsi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a hányás, a hányinger, a hipernatrémia (a vér magas nátriumszintje), a hipofoszfatémia (a vér alacsony foszfátszintje) és a hipokalémia (a vér alacsony káliumszintje).

A Pedmarqsi leggyakoribb súlyos mellékhatása (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) többek között a túlérzékenység (allergiás reakciók).

A Pedmarqsi 1 hónaposnál fiatalabb csecsemők esetében nem alkalmazható.

## **Miért engedélyezték a Pedmarqsi forgalomba hozatalát az EU-ban?**

A ciszplatin miatti hallássérülés egy fontos klinikai probléma, amelyre a Pedmarqsi engedélyezésének idején nem álltak rendelkezésre kezelési lehetőségek. A vizsgálatok során kimutatták, hogy a Pedmarqsi megelőzi gyermekeknél és serdülőknél a bizonyos daganatok esetében alkalmazott ciszplatin-kezelés okozta hallássérülést. Ezenfelül a Pedmarqsi biztonságossági profilja összhangban van a nátrium-tioszulfát más alkalmazásokra vonatkozóan ismert profiljával, és elfogadhatónak tekinthető. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Pedmarqsi alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Pedmarqsi biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

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

## **A Pedmarqsi-val kapcsolatos egyéb információ**

A Pedmarqsi-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pedmarqsi](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pedmarqsi).