



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/95344/2021
EMA/H/C/005266

Pemazyre (*pemigatinib*)

A Pemazyre-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Pemazyre és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Pemazyre egy daganatellenes gyógyszer, amelyet kolangiokarcinómában (epevezeték-daganatban) szenvedő felnőttek kezelésére alkalmaznak olyan esetekben, amikor a daganatos sejtek felszínén található, ún. FGFR2-receptorok (célpont) rendellenesek. A Pemazyre-t akkor alkalmazzák, ha a daganat áttért a szervezet más részeire vagy sebészeti beavatkozással nem távolítható el, és súlyosbodott a legalább egy daganatellenes gyógyszerrel végzett kezelést követően.

Mivel a kolangiokarcinóma „ritkának” minősül, ezért a Pemazyre-t 2018. augusztus 24-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/eu3182066.

A Pemazyre hatóanyaga a pemigatinib.

Hogyan kell alkalmazni a Pemazyre-t?

A Pemazyre szájon át szedett tabletták formájában kapható. A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést kizárólag a betegség diagnosztizálásában és kezelésében tapasztalt orvos kezdheti meg. A gyógyszert háromhetes ciklusokban kell szedni: a Pemazyre-t két hétig naponta kell szedni, majd egy hetet ki kell hagyni. A kezelés addig folytatható, amíg a kedvező hatás fennáll és a mellékhatások kezelhetők.

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

Hogyan fejti ki hatását a Pemazyre?

A Pemazyre hatóanyaga, a pemigatinib, a „protein-kináz gátlóknak” nevezett gyógyszercsoportba tartozik. Azáltal fejti ki hatását, hogy gátolja az úgynevezett fibroblaszt növekedési faktor receptorok (FGFR-ek) aktivitását. A daganatos sejtek felszínén rendellenes FGFR-ek találhatóak, amelyek szerepet



játszanak a daganat növekedésében és terjedésében. Az FGFR-ek aktivitásának gátlása révén a Pemazyre hozzájárul a daganat növekedésének és terjedésének csökkentéséhez.

Milyen előnyei voltak a Pemazyre alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy 108, rendellenes FGFR2-t mutató epevezeték-daganatban szenvedő beteg részvételével végzett fő vizsgálatban a Pemazyre hatásosan csökkentette a daganatos elváltozások méretét. A betegek körülbelül 37%-ánál csökkent a daganat, amely átlagosan 8 hónapig tartott.

Milyen kockázatokkal jár a Pemazyre alkalmazása?

A Pemazyre leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a vér magas vagy alacsony foszfátszintje, hajhullás, hasmenés, körömpróblémák, fáradtság, hányinger, ízérzékelési zavarok, szájnyálkahártya-gyulladás, székrekedés, ízületi fájdalom, száj-, szem-, és bőrszárazság, kiütések és zsibbadás a tenyéren és a talpon, a vér alacsony nátriumszintje, illetve magas kreatininszintje, amely májproblémákra utalhat.

A Pemazyre nem alkalmazható orbáncfüvet tartalmazó növényi gyógyszerrel együtt. A Pemazyre alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Pemazyre forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Pemazyre hatásosnak minősül azoknál az epevezeték-daganatban szenvedő betegeknél, akiknél a daganat legalább egy korábbi kezelés után progresszált és akik számára nincs más engedélyezett kezelés. A betegek tolerálhatják a gyógyszer mellékhatásait, ha szoros megfigyelés alatt állnak, és szükség esetén kezelik őket. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Pemazyre alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Pemazyre-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 Pemazyre-vel kapcsolatban?

Mivel a Pemazyre forgalomba hozatalát feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték, a gyógyszert forgalmazó vállalat be fogja nyújtani a Pemazyre biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó fő vizsgálat végleges eredményeit, valamint egy, a Pemazyre-t gemcitabinnal és ciszplatinnal (más daganatellenes gyógyszerek) az újonnan diagnosztizált epevezeték-daganatban szenvedő betegeknél összehasonlító vizsgálat eredményeit.

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

A Pemazyre 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 Pemazyre alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Pemazyre alkalmazásával összefüggésben

jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Pemazyre-vel kapcsolatos egyéb információ

A Pemazyre-vel kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pemazyre.