



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/222172/2025
EMA/H/C/006220

Rezdiffra (*resmetirom*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Rezdiffra és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Rezdiffra diétával és fizikai aktivitással együtt alkalmazott gyógyszer, amelyet metabolikus diszfunkcióhoz társuló szteatohepatitiszben (CEFRE) szenvedő felnőttek kezelésére alkalmaznak. A CEFRE (más néven NASH, nem alkoholos szteatohepatitisz) a májban felgyülemlett zsír által okozott betegség, amely gyulladást és májkárosodást eredményez. A Rezdiffra-t a máj közepesen súlyos vagy jelentős hegesedésében (2. vagy 3. stádiumú fibrózis) szenvedő felnőtteknél alkalmazzák.

A Rezdiffra hatóanyaga a rezmetirom.

Hogyan kell alkalmazni a Rezdiffra-t?

A Rezdiffra csak receptre kapható. Tabletta formájában kapható, amelyet szájon át, naponta egyszer kell bevenni.

A Rezdiffra nem alkalmazható olyan gyógyszerekkel együtt, mint a gemfibrozil, amely erősen gátolja a CYP2C8 májenzim hatását, amely számos gyógyszer lebontását segíti, mivel ez befolyásolhatja a Rezdiffra lebontását. Ha a Rezdiffra-t közepesen erős CYP2C8 inhibitorokkal (például klopidoгрéllal, deferaziroxszal és teriflunomiddal) alkalmazzák, az adagot csökkenteni kell.

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

Hogyan fejti ki hatását a Rezdiffra?

A CEFRE-ben szenvedő betegeknél a zsír lebontását elősegítő, pajzsmirigyhormon receptor béta (THR-béta) nevű fehérje nem működik megfelelően. A Rezdiffra hatóanyaga, a remetirom azáltal fejti ki hatását, hogy a májsejtekben a THR-bétához kötődik és aktiválja azt. A THR-béta aktiválásával a remetirom növeli a zsír lebomlását; ez csökkenti a májban tárolt zsír mennyiségét, ami segíthet csökkenteni a gyulladást és a fibrózist, és javítja a májfunkciót.

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



Milyen előnyei voltak a Rezdiffra alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálat igazolta, hogy a Rezdiffra hatásos a CEFRE tüneteinek és a májfibrózisnak a csökkentésében.

A fő vizsgálatban 917, CEFRE-ben és F2 (mérsékelt) vagy F3 (előrehaladott) májfibrózisban szenvedő felnőtt vett részt, akik Rezdiffra-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak 12 hónapon keresztül. A vizsgálatban azoknak a betegeknek az arányát tanulmányozták, akiknél a gyulladás enyhülése, illetve a ballonozás (a májsejtek károsodása) következtében megszűntek az MASH tünetei, a fibrózis súlyosbodása nélkül. A vizsgálatban a betegek fibrózisának javulását is mérték, a CEFRE tüneteinek rosszabbodása nélkül.

12 hónap elteltével, az adagtól függően, a Rezdiffra-val kezelt betegek körülbelül 26-30%-ánál szűnt meg a MASH a fibrózis súlyosbodása nélkül, szemben a placebót kapó betegek 10%-ával. Ezenfelül a Rezdiffra-t kapó betegek körülbelül 27-29%-ánál javult a májfibrózis, és nem romlott a CEFRE, szemben a placebót kapó betegek 17%-ával.

Milyen kockázatokkal jár a Rezdiffra alkalmazása?

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

A Rezdiffra leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) közé tartozik a hasmenés és a hányinger. A hasmenés jellemzően a kezelés kezdetén jelentkezik, enyhe vagy közepesen súlyos, és átlagosan 2-3 héten belül elmúlik.

Pruritus (viszketés) 10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet. Cholecystitis (az epehólyag gyulladása, amelyet gyakran az epecsatornát blokkoló epekövek okoznak) és urticaria (viszkető bőrküts) 1000 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet.

Miért engedélyezték a Rezdiffra forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában nem volt engedélyezett kezelés a súlyos és életveszélyes tünetekkel, többek között cirrózissal (a máj súlyos és tartós hegesedése) járó CEFRE-ben szenvedő betegek számára, ha kezelés nélkül maradtak. A Rezdiffra bizonyítottan csökkenti a betegség és a fibrózis tüneteit, amelyeket jelentős egészségügyi előnyöknek tekintenek. Még nem állnak rendelkezésre adatok arra vonatkozóan, hogy ezek az előnyök csökkentik-e az előrehaladott májbetegséget és a májátültetés szükségességét, vagy javítják-e a túlélést. További hosszú távú adatok fognak rendelkezésre állni ezeknek a kérdéseknek a megválaszolására. Biztonságossági szempontból a leggyakoribb mellékhatások elfogadhatók.

A Rezdiffra forgalomba hozatalát az EU-ban feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a feltételes forgalombahozatali engedélyt a szokásosan előírtaknál kevésbé átfogó adatok alapján adják ki olyan gyógyszerek esetében, amelyek egyes súlyos betegségek kezelésére vonatkozóan kielégítetlen gyógyszerigényt elégítenek ki. Az Európai Gyógyszerügynökség úgy véli, hogy a gyógyszer korábbi rendelkezésre állásának előnyei meghaladják a gyógyszer alkalmazásával járó kockázatokat addig is, amíg további bizonyítékokra kell várni.

A vállalatnak további adatokat kell szolgáltatnia a Rezdiffra-ról. A vállalatnak be kell nyújtania két folyamatban lévő vizsgálat további eredményeit, amelyekben a Rezdiffra-t placebóval hasonlították össze CEFRE-ben, illetve közepesen előrehaladott vagy előrehaladott májfibrózisban szenvedő betegeknél. Az Ügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

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

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

A Rezdifra-val kapcsolatos egyéb információ

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