



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701116/2017
EMA/H/C/006363

Romvimza (*vimszeltinib*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Romvimza és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Romvimza-t tünetmentes tenosynoviális óriássejtes daganatban (TGCT) szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazzák; TGCT-ben szenvedő, súlyos mozgáskorlátozott személyeknél alkalmazzák, akik számára a műtét már nem opció, vagy súlyos hosszú távú problémákat okozna.

A TGCT egy olyan betegség, amelynél egy nem rákos daganat fejlődik ki az ízületek és az inak körül, és károsíthatja a környező szöveteket. Általában egyetlen ízületet érint, leggyakrabban fiatal és középkorú felnőttek térd- vagy bokaízületét. A tünetek közé tartozik általában a fájdalom, duzzanat, merevség és az ízület mozgathatóságának nehézsége.

Mivel a TGCT „ritkának” minősül, ezért a Romvimza-t 2019. december 16-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Romvimza hatóanyaga a vimszeltinib.

Hogyan kell alkalmazni a Romvimza-t?

A Romvimza csak receptre kapható, és a kezelést a TGCT diagnosztizálásában és kezelésében tapasztalt egészségügyi szakembernek kell megkezdenie.

A Romvimza kapszula formájában kapható, amelyet szájon át, hetente kétszer kell bevenni. A kezelés mindaddig folytatódhat, amíg a beteg számára előnyös, és nem jár elfogadhatatlan mellékhatásokkal.

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

Hogyan fejti ki hatását a Romvimza?

A TGCT-k esetében a CSF1 nevű fehérje túlzott mennyiségben termelődik. Ez a fehérje több sejtet vonz magához, és osztódásra ösztönzi őket, ami a daganat növekedését eredményezi. A Romvimza hatóanyaga, a vimszeltinib gátolja a sejteken lévő CSF1 receptorainak (célreceptorok) aktivitását. A

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



CSF1 hatásának csökkentésével a gyógyszer várhatóan lassítja a daganat növekedését, és ezáltal csökkenti a betegség tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Romvimza alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálat igazolta, hogy a Romvimza csökkentheti a daganatok méretét a TGCT-ben szenvedő betegeknél. Ebben a vizsgálatban 123, TGCT-ben szenvedő olyan felnőtt vett részt, akiknél tünetek, például közepesen súlyos vagy súlyos fájdalom vagy ízületi merevség jelentkezett, és akiknél a műtét súlyos problémákat okozott volna. A betegek Romvimza-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak.

25 hetes kezelést követően a Romvimza-val kezelt betegek körülbelül 35%-ánál (83-ból 29-nél) csökkent a daganat (részleges válasz), és a betegek körülbelül 5%-ánál (83-ból 4-nél) nem volt kimutatható a daganat (teljes válasz). A Romvimza-val végzett 97 hetes kezeléssel a nem kimutatható daganattal rendelkező betegek aránya 23%-ra (83-ból 19) emelkedett. Összehasonlításképpen, a placebót kapott betegeknél nem volt változás. További adatok utaltak arra, hogy a Romvimza a placebohoz képest javíthatja a betegek mozgását és ízületi merevségét.

Milyen kockázatokkal jár a Romvimza alkalmazása?

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

A Romvimza leggyakoribb mellékhatásai (5 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a májenzimek emelkedett szintje (májproblémákra utalhat), a periorbitális ödéma (a szem körüli duzzanat), az emelkedett koleszterinszint, a kiütés, az emelkedett kreatininszint (amely veseproblémákra utalhat), a neutrofilek (a fehérvérsejtek egy típusa) csökkent szintje, a fáradtság, az arc duzzanata (viszketés), a perifériás ödéma (általában a bokát és a lábat érintő duzzanat) és a magas vérnyomás.

Egyes mellékhatások súlyosak lehetnek. Ezek közé tartozik a perifériás ödéma és a kreatin-foszfináz (izomkárosodás esetén a vérbe felszabaduló enzim) megnövekedett szintje, amely 100 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet.

A Romvimza terhesség alatt nem alkalmazható.

Miért engedélyezték a Romvimza forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Romvimza hatásosnak bizonyult a daganatok méretének csökkentésében olyan, TGCT-ben szenvedő felnőtteknél, akiknél tünetek jelentkeznek, és akiknél nem lehet műtétet végezni. Emellett megjegyezték, hogy a Romvimza-val kezelt betegek egy része a mozgási tartomány javulásáról, valamint csökkent ízületi merevségről és fájdalomról számolt be, ami jobb életminőségre utal. Az engedélyezés időpontjában az ebben a ritka betegségben szenvedő betegek kezelési lehetőségei korlátozottak voltak.

A Romvimza mellékhatásai elfogadhatónak tekinthetők. A rendelkezésre álló korlátozott biztonságossági adatok miatt azonban jelentős bizonytalanság áll fenn a gyógyszer hosszú távú biztonságosságával kapcsolatban, különös tekintettel a májra, a vesékre és az izmokra, valamint a vérnyomásra, az agyra vagy a mentális funkcióra és a másodlagos daganatokra gyakorolt lehetséges hatásokra. Ennek kezelése érdekében a vállalat egy vizsgálatot fog végezni, hogy tanulmányozza a Romvimza hosszú távú biztonságosságát.

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

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

A Romvimza-t forgalmazó vállalat anyagokat fog biztosítani a betegek és az egészségügyi szakemberek számára, hogy figyelmeztessék őket a magzat károsodásának lehetséges kockázatára. Ez a figyelmeztetés laboratóriumi vizsgálatok eredményein alapul. A betegek egy kártyát kapnak, amely emlékezteti őket arra, hogy a Romvimza nem alkalmazható terhesség alatt, és hogy a fogamzóképes korban lévő személyeknek hatékony fogamzásgátlást kell alkalmazniuk a kezelés alatt és a kezelés befejezését követően legfeljebb egy hónapig. Az egészségügyi szakemberek útmutatót kapnak, amely tájékoztatást nyújt erről a kockázatról, és emlékezteti őket arra, hogy a terhességre hajlamos személyeket a kezelés előtt és alatt megfelelő tanácsadással kell ellátni, és a kezelés megkezdése előtt negatív terhességi tesztre van szükség.

A Romvimza biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

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

A Romvimza-val kapcsolatos egyéb információ

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