



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/19107/2024  
EMA/H/C/004824

## Rystiggo (*rozanolixizumab*)

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

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

A Rystiggo a generalizált miaszténia gráviszban (egy izomgyengeséget és fáradtságot okozó betegségben) szenvedő és olyan felnőttek kezelésére alkalmazott gyógyszer, akiknek az immunrendszere ellenanyagokat termel az izomsejteken található, acetilkolin-receptornak vagy izomspecifikus tirozin-kináznak nevezett fehérjék ellen. A gyógyszert más, a miaszténia grávisz kezelésére alkalmazott gyógyszerekkel együtt alkalmazzák.

A miaszténia grávisz ritka, és a Rystiggo-t 2020. [április 22-én „ritka betegség elleni gyógyszeré” \(orphan drug\) minősítették.](#)

A Rystiggo hatóanyaga a rozanolixizumab.

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

A Rystiggo csak receptre kapható, és a kezelést a neuromuszkuláris vagy neuroinflammatorikus (idegrendszeri gyulladással járó) betegségek kezelésében tapasztalattal rendelkező szakorvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A Rystiggo-t bőr alá adott infúzió formájában, hetente egyszer, 6 hetes ciklusokban alkalmazzák. Az orvos dönti el, hogy a betegnek hány ciklusra van szüksége, és milyen gyakran kell ezekre sort keríteni. Az adag a beteg testtömegétől függ.

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

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

Miaszténia gráviszban az IgG antitestnek nevezett immunfehérje az immunrendszert az acetilkolin-receptorok vagy az izomspecifikus tirozin-kináz károsítására készíti. A Rystiggo hatóanyaga, a rozanolixizumab egy monoklonális antitest (egy fehérjetípus), amelyet úgy alakítottak ki, hogy kötődjön az FcRn-hez, egy olyan fehérjéhez, amely az IgG antitesteket hosszabb ideig a szervezetben tartja. Az FcRn-hez való kötődéssel és annak gátlásával a gyógyszer növeli az IgG antitestek

**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



eltávolítását, ezáltal megakadályozva, hogy azok megtámadják az acetilkolin receptorokat vagy az izomspecifikus tirozin-kinázt. Ez várhatóan az izomműködés javulásához vezet.

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

Egy fő vizsgálat kimutatta, hogy a Rystiggo hatásos volt a miaszténia gráviszban szenvedő felnőttek kezelésében.

A vizsgálatban 200, közepesen súlyos vagy súlyos miaszténia gráviszban szenvedő felnőtt vett részt, akik antitesteket mutattak az acetilkolin receptorral vagy izomspecifikus tirozin-kinázzal szemben, és akik a Rystiggo kétféle adagjának egyikét (alacsony vagy magas dózis) vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelés) kaptak. A vizsgálatban a kezelés hatását a speciálisan a miaszténia gráviszra vonatkozó „mindennapi életvitel” (Myasthenia Gravis-specific Activities of Daily Living, MG-ADL) skála segítségével mérték, amely a betegségnek a betegek napi aktivitására kifejtett hatását méri. A skála 0-tól 24-ig terjed, amelyen a magasabb pontszámok súlyosabb tüneteket jeleznek.

Egy 6 hetes kezelési ciklust követően a Rystiggo valamelyik adagjával kezelt betegeknél az MG-ADL pontszám körülbelül 3,4 ponttal csökkent, szemben a placebóval kezelt betegeknél mért körülbelül 0,8 ponttal.

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

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

A Rystiggo leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, hasmenés és a láz.

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

A miaszténia gráviszban szenvedő betegeknek kevés kezelési lehetőségük van, és az izomspecifikus tirozin-kináz elleni antitestekkel rendelkező személyeknél különösen nagy a kielégítetlen orvosi igény.

A Rystiggo hatásosnak bizonyult a miaszténia grávisz tüneteinek csökkentésében, amelyet az MG-ADL pontszám csökkenése alapján mértek. Bár a vizsgálatban kis számban voltak olyan személyek, akiknél izomspecifikus tirozin-kináz elleni antitestek termelődtek, az eredmények ezen személyek számára is előnyös hatásra utaltak. Az Európai Gyógyszerügynökség megjegyezte, hogy a fő vizsgálat csak egy 6 hetes kezelési ciklust követően vizsgálta a gyógyszer hatását, és nem értékelte, hogy a tünetek súlyosbodása esetén szükség van-e további Rystiggo-kezelésre. A vállalat ezért további adatokat fog benyújtani egy, a Rystiggo krónikus (hosszú távú) kezelésben való alkalmazását tanulmányozó vizsgálatból.

Azoknál a személyeknél, akik a Rystiggo alacsonyabb adagját kapták, a biztonságossági profilt kezelhetőnek tartották, és ezt választották a javasolt adagnak.

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

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

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

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

A Rystiggo az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

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