



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/613753/2022
EMA/H/C/005605

Scemblix (*aszcinib*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Scemblix és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Scemblix egy daganatellenes gyógyszer. A krónikus mieloid leukémia (CML), a fehérvérsejtek daganatos betegségének kezelésére alkalmazzák a „krónikus” fázisban (ez akkor fordul elő, amikor a betegség lassan alakul ki, és a betegnek kevés tünete van vagy egyáltalán nincs tünete). A gyógyszer „Philadelphia-kromoszóma pozitív” (Ph+) daganatos betegségben szenvedő felnőtt betegeknek alkalmazható. A Ph+ azt jelenti, hogy a beteg kromoszómái közül kettő átrendeződött, és egy Philadelphia-kromoszómának nevezett speciális kromoszómát hozott létre. Ez a kromoszóma egy BCR::ABL1 kináz enzimet termel, ami a leukémia kialakulásához vezet.

A Scemblix-et olyan betegeknek alkalmazzák, akiket már kezeltek két vagy több, tirozin-kináz-inhibitornak nevezett daganatellenes gyógyszerrel.

Mivel a CML „ritkának” minősül, ezért a Scemblix-et 2020. március 24-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: https://www.ema.europa.eu/documents/orphan-designation/eu/3/20/2261-public-summary-opinion-orphan-designation-asciminib-treatment-chronic-myeloid-leukaemia_en.pdf

A Scemblix hatóanyaga az aszcinib.

Hogyan kell alkalmazni a Scemblix-et?

A Scemblix csak receptre kapható, és a kezelést a leukémia diagnosztizálásában és kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie.

A gyógyszer tableta formájában kapható, amelyet szájon át, naponta kétszer kell bevenni. Bizonyos mellékhatások jelentkezése esetén a kezelőorvos megszakíthatja a kezelést és csökkentheti az adagot. A kezelést le lehet állítani, ha a beteg nem tolerálja a csökkentett dózissal végzett kezelést.

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

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



Hogyan fejt ki hatását a Scemblix?

A Scemblix hatóanyaga, az aszciminib, egy tirozin-kináz-inhibitor (TKI), ami azt jelenti, hogy gátolja a tirozin-kinázként ismert enzimeket. Ph+ CML esetében a szervezet nagy számban termel rendellenes fehérvérsejteket. A Scemblix kifejezetten gátolja az ezen sejtek által termelt BCR::ABL1 tirozin-kináz működését, ami leállítja a sejtek osztódását és növekedését.

Milyen előnyei voltak a Scemblix alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Scemblix előnyeit egy fő vizsgálatban értékelték, amelyben 233, krónikus fázisban lévő Ph+ CML-ben szenvedő felnőtt vett részt, akiket korábban két vagy több tirozin-kináz-inhibitorral kezeltek. Ebben a vizsgálatban a Scemblix hatékonyabb volt a bozutinibnél (egy másik tirozin-kináz-inhibitor): 24 hetes kezelés után a Scemblix-szel kezelt betegek 25%-ánál (157-ből 40-nél) mutatkozott jelentős molekuláris válasz (ami azt jelenti, hogy a BCR::ABL1 génnel rendelkező sejtek száma 1000-szer alacsonyabb szintre csökkent, mint a standardizált kiindulási érték), míg a bozutinibbel kezelt betegeknél ez az arány 13% (76-ből 10) volt. 96 hetes kezelést követően a Scemblix-et kapó betegek 38%-ánál (157-ből 59-nél), illetve a bozutinibet kapó betegek 16%-ánál (76-ből 12-nél) jelentkezett jelentős molekuláris válasz.

Milyen kockázatokkal jár a Scemblix alkalmazása?

A Scemblix leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 2-nél jelentkezhet) az izom-, ízületi és csontfájdalom, felső légúti (orr- és torok-) fertőzések, trombocitopénia (alacsony vérlemezkesszám), fáradtság, fejfájás, a hasnyálmirigy-enzimek megemelkedett szintje, hasi fájdalom, hasmenés és hányinger.

A Scemblix leggyakoribb súlyos mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a pleurális folyadékgyülem (folyadék a tüdő körül), alsó légúti fertőzések (tüdőfertőzések, például bronchitis vagy tüdőgyulladás), trombocitopénia, láz, hasnyálmirigy-gyulladás, (nem a szívhez kapcsolódó) mellkasfájdalom, és a hányás.

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

Miért engedélyezték a Scemblix forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Scemblix egy másik tirozin-kináz-inhibitornál hatásosabbnak bizonyult a BCR::ABL1 génnel rendelkező sejtek számának csökkentésében olyan betegeknél, akik már legalább két korábbi tirozin-kináz-inhibitorral kaptak. A biztonságosságot illetően a Scemblix mellékhatásai hasonlóak az ezen gyógyszerosztály esetében tapasztaltakhoz, és kezelhetőnek tekinthetők. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Scemblix alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

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

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

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

A Scemblix-szel kapcsolatos egyéb információ

A Scemblix-szel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Scemblix