



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/684022/2021  
EMA/H/C/005467

## Voraxaze (glükarpidáz)

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

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

A Voraxaze-t a metotrexát (egy daganatellenes gyógyszer) vérszintjének csökkentésére alkalmazzák olyan felnőtteknél, illetve 28 napnál idősebb gyermekeknél, akiknek a szervezete nem képes elég gyorsan üríteni a metotrexátot, illetve fennáll a metotrexát okozta toxicitás kockázata (amikor a metotrexát károsítja a szervezet egészséges sejtjeit és szerveit).

Mivel a metotrexát okozta toxicitás „ritkának” minősül, ezért a Voraxaze-t 2003. február 3-án „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/eu-3-02-128](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-02-128).

A Voraxaze hatóanyaga a glükarpidáz.

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

A Voraxaze csak receptre kapható, és egészségügyi szakember felügyelete mellett kell alkalmazni. Egyszeri vénás injekcióban kell beadni a metotrexát-infúzió megkezdése után 48–60 órán belül, amikor a betegnél fennáll a metotrexát okozta toxicitás kockázata (a metotrexát vérben mért szintje alapján).

A Voraxaze-t a metotrexát okozta toxicitás kezelésére alkalmazott más gyógyszerekkel, valamint szupportív kezelésekkel, például folyadékok adásával együtt alkalmazzák.

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

### **Hogyan fejt ki hatását a Voraxaze?**

A metotrexát a DNS-termelés befolyásolása révén megakadályozza a sejtek növekedését. Ez különösen a gyorsan növekedő sejteket érinti, például a daganatsejteket. A metotrexát azonban a szervezet más, egészséges sejtjeire és szerveire is káros lehet. Ezt a káros hatást nevezik a metotrexát okozta toxicitásnak. A metotrexát okozta toxicitás életveszélyes állapot.

---

**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



A Voraxaze hatóanyaga, a glükarpidáz egy olyan fehérje, amely a vérben lévő metotrexátot ártalmatlan anyagokká képes átalakítani. Így csökken a metotrexát mennyisége a vérben, és csökken a toxicitás kockázata. Mivel a glükarpidáz nem jut be a sejtekbe, nem gátolja meg a daganatsejtekbe már bejutott metotrexátot a daganat kezelésében.

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

Négy vizsgálatban, melyekben metotrexát okozta toxicitás kockázatának kitett betegeket vontak be, a Voraxaze klinikailag jelentős mértékben csökkentette a metotrexát vérben mért szintjét (vagyis olyan szintre, amelyen a metotrexát már nem okoz károsodást). A vizsgálatokban 169 olyan beteget tanulmányoztak, akiknél a metotrexát szintjét a Voraxaze első adagjának beadását követően legalább egyszer megmérték nagy teljesítményű folyadék-kromatográfiás (HPLC) módszerrel. A Voraxaze-t nem hasonlították össze más kezelésekkel.

Az első vizsgálatban olyan betegek vettek részt, akiknél csökkent vesefunkció vagy túl nagy mennyiségben beadott intratekális (a gerincvelőt körülvevő folyadékba adott) metotrexát miatt fennállt a metotrexát okozta toxicitás kockázata. A Voraxaze-kezelés 28 beteg közül 24-nél (85,7%) eredményezett klinikailag jelentős mértékű csökkenést a metotrexát vérben mért szintjében.

Két vizsgálatban olyan betegek vettek részt, akik csökkent vesefunkció miatt nem tudták a metotrexátot üríteni a szervezetükből. Ezekben a vizsgálatokban a Voraxaze-kezelés 27 beteg közül 14-nél (51,9%), illetve 30 beteg közül 20-nál (66,7%) eredményezte a metotrexát vérben mért szintjének klinikailag jelentős mértékű csökkenését.

Az utolsó vizsgálatban olyan betegeket kezeltek Voraxaze-val önmagában vagy timidinnel (egy másik, a metotrexát szintjét csökkentő kezeléssel) kombinációban, akik csökkent vesefunkció miatt nem voltak képesek a metotrexátot a szervezetükből üríteni. Ezen betegek közül 84-ből 46 (54,8%) esetben érték el a metotrexát vérben mért szintjében klinikailag jelentős mértékű csökkenést. A Voraxaze-t és timidint kapó betegek 50%-ánál érték el klinikailag jelentős mértékű csökkenést a metotrexát szintjében, míg a csak Voraxaze-t kapó betegeknél ez az arány 59,5% volt.

Összességében a négy vizsgálatban a metotrexát átlagos szintje 96,8–99,3%-kal csökkent a Voraxaze első adagjának beadását követő 15 percen belül. Ezenfelül a metotrexát szintje 8-15 napig stabil maradt.

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

A Voraxaze leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezik) az égő érzés, fejfájás, paresztézia (bizsergés vagy zsibbadás, tűszúrások érzése), kipirulás és a forróságérzet.

A Voraxaze alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás, valamint a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

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

A metotrexát okozta toxicitás súlyos, életveszélyes állapot, amely akkor alakul ki, ha a gyógyszert a vesék nem távolítják el megfelelően, és az felhalmozódik a vérben és az egész szervezetben. A metotrexát okozta toxicitás kockázatának kitett betegeknél a Voraxaze a metotrexát vérben mért szintjének gyors és nagy mértékű csökkenését eredményezi, amely a kezelés után akár 15 napig alacsony marad. Bár a Voraxaze biztonságosságára vonatkozóan korlátozott adatok állnak rendelkezésre, az Európai Gyógyszerügynökség úgy ítélte meg, hogy a Voraxaze egy adagjának alkalmazása után jelentkező mellékhatások a metotrexát okozta toxicitás súlyosságára való tekintettel

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

A Voraxaze-t „kivételes körülmények” között engedélyzték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Voraxaze-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

## **Milyen információk várhatók még a Voraxaze-val kapcsolatban?**

Mivel a Voraxaze forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyzték, a Voraxaze-t forgalmazó vállalat további adatokat fog benyújtani a Voraxaze biztonságosságával és hatásosságával kapcsolatban azon betegek esetén, akik nem képesek a szervezetükből megfelelően üríteni a metotrexátot.

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

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

## **A Voraxaze-vel kapcsolatos egyéb információ**

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