



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/4229/2025
EMA/H/C/005636

Welireg (*belzutifan*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Welireg és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Welireg egy daganatellenes gyógyszer, amelyet az alábbi betegségek kezelésére alkalmaznak:

- előrehaladott, tiszta sejtes vesesejtes karcinómában (a vesedaganat egy típusa) szenvedő felnőtteknél, akiknek a betegsége két vagy több korábbi, beleértve egy PD-(L)1 gátlót és legalább két típusú VEGF ellenes gyógyszert tartalmazó kezelés ellenére súlyosbodott. Az „előrehaladott” azt jelenti, hogy a daganat elkezdett terjedni;
- von Hippel-Lindau (VHL) betegségben szenvedő olyan felnőtteknél, akiknek a társuló, lokalizált (a szervezet egy területére korlátozódó) vesesejtes karcinóma, központi idegrendszeri hemangioblastomák (az agydaganat egy típusa) vagy hasnyálmirigy eredetű neuroendokrin tumorok (a hasnyálmirigy-daganat egy típusa) kezelésére van szükségük, és akiknél nem végezhető műtét vagy egyéb helyi kezelés. A VHL-betegség egy genetikai betegség, amely daganatok és ciszták növekedését okozza a szervezet bizonyos részein.

A Welireg hatóanyaga a belzutifan.

Hogyan kell alkalmazni a Welireg-et?

A Welireg csak receptre kapható, és a kezelést a daganatos betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A Welireg tabletta formájában kapható, amelyet naponta egyszer, szájon át kell bevenni. A kezelést addig kell folytatni, amíg az a betegre kedvező hatással van, vagy amíg elfogadhatatlan mellékhatások nem lépnek fel.

További információért a Welireg alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.



Hogyan fejti ki hatását a Welireg?

A Welireg hatóanyaga, a belzutifan azáltal fejti ki hatását, hogy gátolja a sejtek növekedésében, az új vérerek kialakulásában és a rák növekedésében szerepet játszó, a hipoxia-induktív 2 alfa faktornak (HIF-2α) nevezett fehérje hatását. A fehérje működésének gátlásával a belzutifan megakadályozza az új vérerek kialakulását, elvágja a daganatsejtek növekedését biztosító vérellátást, és csökkenti a daganat növekedését.

Milyen előnyei voltak a Welireg alkalmazásának a vizsgálatok során?

Előrehaladott, tiszta sejtes vesesejtes karcinóma (RCC)

Egy fő vizsgálat igazolta, hogy a Welireg az előrehaladott, tiszta sejtes vesesejtes karcinóma kezelésében legalább olyan hatékony volt, mint egy másik engedélyezett daganatellenes gyógyszer, az everolimusz.

A vizsgálat megállapította, hogy a 369 beteg közül, akiknek a betegsége a korábbi kezelések ellenére rosszabbodott, a Welireg-et kapó betegek körülbelül 22 hónapig éltek, míg az everolimusszal kezelt betegek körülbelül 18 hónapig éltek. Ezenfelül a Welireg-et kapott betegek átlagosan 4,6 hónapig éltek a daganatos betegség súlyosbodása nélkül, míg az everolimusszal kezelt betegeknél ez az időtartam 5,4 hónap volt.

A von Hippel-Lindau (VHL) betegséghez társuló tumorok

Egy fő vizsgálat igazolta, hogy a Welireg hatásos a VHL betegséghez társuló bizonyos tumorokban szenvedő betegek kezelésében.

A hatásosság fő mutatója azoknak a vesesejtes karcinómában szenvedő betegeknek az aránya volt, akiknél a daganatos betegségnek nem volt jele, vagy akiknek a daganata a Welireg-kezelést követően zsugorodott. Az ebben a daganatos betegségben szenvedő 61 beteg közül 41-nek (67%) sikerült elérni ezt a gyógyszerválaszt, amely 29 beteg esetében legalább 18 hónapig fennmaradt.

Gyógyszerválasztokat központi idegrendszeri hemangioblastomákban és hasnyálmirigy neuroendokrin daganatokban szenvedő betegeknél is észleltek. Ebben a vizsgálatban a Welireg-et nem hasonlították össze más kezeléssel vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés).

Milyen kockázatokkal jár a Welireg alkalmazása?

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

A Welireg leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a vérszegénység (a vörösvérsejtek alacsony szintje), fáradtság, hányinger, nehéz légzés, szédülés és hipoxia (oxigénhiány a testszövetekben). A Welireg alkalmazásának néhány mellékhatása súlyos lehet. A leggyakoribbak a hipoxia, az anémia és a diszpnoé, amelyek 10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhetnek.

A Welireg terhesség alatti alkalmazása vetélést és súlyos károsodást okozhat a fejlődő csecsemőnek. Ezért a Welireg nem alkalmazható VHL-betegséggel összefüggő daganatokban szenvedő várandós nőknél, és csak előrehaladott, tiszta sejtes vesesejtes karcinómában szenvedő terhes nők esetében alkalmazható, ha az orvos ezt feltétlenül szükségesnek ítéli. A fogamzóképes korban lévő nőknek terhességi tesztet kell végezniük a Welireg-kezelés megkezdése előtt, hogy meggyőződjenek arról, hogy nem terhesek. A nőknek hatékony fogamzásgátló módszert kell alkalmazniuk a Welireg-kezelés előtt és alatt, valamint a kezelés leállítását követően legalább 1 hétig. A Welireg csökkentheti a

hormonális fogamzásgátlás hatékonyságát. Ezért a Welireg-et szedő nőknek nem hormonális fogamzásgátlási módszert, például óvszert is alkalmazniuk kell.

Miért engedélyezték a Welireg forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában korlátozott kezelési lehetőségek álltak rendelkezésre az előrehaladott tiszta sejtes vesesejtes karcinómában szenvedő olyan felnőttek számára, akiknek a daganata két vagy több korábbi, beleértve egy PD-(L)1-inhibitornak nevezett daganatellenes gyógyszertípust és legalább kétféle VEGF-célzott daganatellenes gyógyszer alkalmazó kezelés ellenére súlyosbodott. Egy fő vizsgálat igazolta, hogy a Welireg legalább olyan hatékony a túlélés meghosszabbításában és a betegség súlyosbodásának késleltetésében ezeknél a betegeknél, mint a komparátor gyógyszer.

Az engedélyezés időpontjában nem volt engedélyezett kezelés a VHL-betegségben szenvedő olyan felnőttek számára, akiknek a társult tumorok kezelésére volt szükségük. Bár az ilyen betegekkel végzett fő vizsgálatban a Welireg-et nem hasonlították össze más daganatellenes kezeléssel vagy placebóval, és csak kisszámú beteg vett részt benne, a vizsgálat azt mutatta, hogy a Welireg hatásos volt a daganat méretének csökkentésében vagy a daganatos betegség jeleinek megszüntetésében.

A biztonságosság tekintetében a Welireg mellékhatásai a vizsgálatok során kezelhetők voltak. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Welireg alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Welireg forgalomba hozatalát 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 Ügynökség 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 Welireg-re vonatkozóan. A vállalatnak két folyamatban lévő vizsgálat eredményeit kell benyújtania a Welireg hatásosságának és biztonságosságának megerősítésére bizonyos, a VHL-betegséghez társuló tumorokban szenvedő felnőtteknél. Az Ügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

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

A Welireg-et forgalmazó vállalat útmutatót és kártyát fog biztosítani az egészségügyi szakemberek számára a betegek számára, amely ismerteti a fejlődő csecsemő súlyos károsodásának kockázatát, a kezelés során a terhesség elkerülése érdekében meghozandó óvintézkedéseket, valamint a kezelés során teherbe eső nők esetén követendő eljárást.

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

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

A Welireg-gel kapcsolatos egyéb információ

A Welireg-gel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/welireg.