



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/248726/2023
EMA/H/C/005825

Ztalmy (*ganaxolon*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Ztalmy és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Ztalmy-t epilepsziás rohamok kezelésére alkalmazzák olyan 2 és 17 éves kor közötti gyermekeknél, akik az úgynevezett ciklinfüggő kináz-szerű 5 (CDKL5) hiányban szenvednek. Ezek a betegek felnőtté válásukat követően is szedhetik a Ztalmy-t, ha hatása egyértelmű kedvező.

A gyógyszert más epilepszia elleni gyógyszerekkel kombinációban alkalmazzák.

Mivel a CDKL5-hiányos rendellenesség „ritkának” minősül, ezért a Ztalmy-t 2019. november 13-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Ztalmy hatóanyaga a ganaxolon.

Hogyan kell alkalmazni a Ztalmy-t?

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést az epilepsziás betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A Ztalmy szájon át alkalmazandó folyadék formájában kapható, és általában naponta háromszor alkalmazzák. Az adagot a beteg testtömege alapján határozzák meg.

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

Hogyan fejti ki hatását a Ztalmy?

A Ztalmy hatóanyaga, a ganaxolon, a szervezetben található, allopregnanolon nevű anyag működését utánozza. Aktiválja az úgynevezett GABA-receptorokat, ami csökkenti az agy túlzott elektromos aktivitását, csökkentve ezáltal a rohamok számát.



Milyen előnyei voltak a Ztalmy alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálat igazolta, hogy a Ztalmy csökkenti a rohamok gyakoriságát azoknál a CDKL5-hiányos rendellenességben szenvedő gyermekeknél és serdülőknél, akik legalább egy másik epilepszia elleni gyógyszert szednek.

A vizsgálatban összesen 101, CDKL5-hiányos rendellenességben szenvedő beteg vett részt, és a Ztalmy-t placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze, mindkettőt meglévő epilepszia elleni gyógyszerek mellett alkalmazva.

A súlyos rohamok havi száma a Ztalmy-val kezelt betegek csoportjában átlagosan 29%-kal, a placebóval kezelt csoportban pedig 6%-kal csökkent.

Milyen kockázatokkal jár a Ztalmy alkalmazása?

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

A Ztalmy leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az álmoság és a láz.

Miért engedélyezték a Ztalmy forgalomba hozatalát az EU-ban?

A fő vizsgálat azt mutatta, hogy a Ztalmy hatásosan csökkenti a rohamok számát a CDKL5-hiányos rendellenességben szenvedő gyermekeknél. A mellékhatásokat kezelhetőnek tartják. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Ztalmy alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

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

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

A Ztalmy-val kapcsolatos egyéb információ

A Ztalmy-val kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ztalmy