



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023. augusztus 3.
EMA/390304/2023

Az Adakveo nevű, sarlósejtes betegség elleni gyógyszer engedélyének visszavonása

2023. május 26-án az EMA emberi felhasználásra szánt gyógyszerekkel foglalkozó bizottsága (CHMP) a sarlósejtes betegségben szenvedő, 16 éves és idősebb betegeknél fellépő fájdalmas krízisek (ún. vazookkluzív krízisek) megelőzésére szolgáló Adakveo-ra (krizanlizumab) vonatkozó forgalombahozatali engedély visszavonását javasolta.

A visszavonás a CHMP által végzett felülvizsgálatot követte, amely megállapította, hogy a gyógyszer alkalmazásának előnyei nem haladják meg a kockázatokat. A felülvizsgálat keretében a STAND vizsgálat eredményeit tanulmányozták, amelyben az Adakveo hatásosságát és biztonságosságát placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze olyan betegeknél, akiknél korábban egészségügyi ellátást igénylő fájdalmas krízisek léptek fel.

A vizsgálat rámutatott, hogy az Adakveo nem csökkenti az egészségügyi ellátást igénylő fájdalmas krízisek számát. A kezelés első évében az Adakveo-val kezelt betegeknél átlagosan 2,5, míg a placebo csoportban 2,3, a későbbiekben egészségügyi ellátást igénylő fájdalmas krízis lépett fel.

Ezenfelül az egészségügyi ellátást vagy otthoni kezelést igénylő krízisek átlagos száma az Adakveo esetében 4,7, placebo esetében pedig 3,9 volt.

A felülvizsgálat keretében a CHMP más vizsgálatokból, valamint egy korlátozott hozzáférésű programból származó adatokat, illetve valós adatokat is tanulmányozott. A vizsgálatoknak azonban számos korlátja volt, például az összehasonlító készítmény hiánya, így nem lehetett felhasználni őket az Adakveo hatásának bemutatására, illetve a STAND vizsgálat negatív eredményeinek ellensúlyozására.

A biztonságosságot illetően a STAND vizsgálat ugyan nem vetett fel új aggályokat, az Adakveo esetében a placebóhoz képest nagyobb arányban fordultak elő a kezeléssel összefüggő súlyos mellékhatások. A CHMP ezért megállapította, hogy a gyógyszer alkalmazásának előnyei nem haladják meg a kockázatokat.

A forgalombahozatali engedély kiadásának időpontjában az adatok azt mutatták, hogy az Adakveo hatásosan csökkenti a sarlósejtes betegségben szenvedő betegeknél fellépő fájdalmas krízisek számát. Az adatok azonban korlátozottak voltak, és némi bizonytalanság állt fenn a gyógyszer hatásának mértékét illetően.

Az EMA ezért az Adakveo forgalombahozatali engedélyének feltételeként kérte a STAND vizsgálat elvégzését. Az engedélyt 2020 októberében adta ki. Mivel a STAND vizsgálat eredményei nem erősítik



meg az Adakveo alkalmazásával kapcsolatban korábban tapasztalt előnyöket, a CHMP arra a következtetésre jutott, hogy a gyógyszer alkalmazásának előnyei nem haladják meg a kockázatokat, és az engedély visszavonását javasolta az EU-ban.

A CHMP ajánlása alapján az Európai Bizottság 2023. augusztus 3-án jogilag kötelező erejű határozatot hozott. Kérdések esetén a betegek forduljanak kezelőorvosukhoz, a gondozásukat végző egészségügyi szakemberhez vagy gyógyszerészükhöz.

Tájékoztató a betegek számára

- Egy nemrégiben végzett vizsgálat rámutatott, hogy az Adakveo nem csökkenti a sarlósejtes betegségben szenvedő betegeknél fellépő, egészségügyi ellátást vagy otthoni kezelést igénylő fájdalmas krízisek számát.
- A legújabb vizsgálati eredmények miatt az Adakveo-t az EU-ban kivonják a forgalomból, és új betegeket nem kezelnek a gyógyszerrel.
- Ha Ön Adakveo-kezelésben részesül, mielőbb keresse fel kezelőorvosát, hogy megbeszélje vele az egyéb kezelések alkalmazását.
- További kérdéseivel forduljon kezelőorvosához, a gondozását végző egészségügyi szakemberhez vagy gyógyszerészéhez.

Tájékoztató az egészségügyi szakemberek számára

- A sarlósejtes betegség elleni gyógyszert, az Adakveo-t (krizanlizumab) az EU-ban kivonják a forgalomból, mivel egy közelmúltbeli vizsgálat nem igazolta a gyógyszer klinikai előnyeit.
- A STAND vizsgálat nem mutatott különbséget az Adakveo (2,49; 95%-os CI [1,90; 3,26]) és a placebo (2,30; 95%-os CI [1,75; 3,01]) között az első év során egészségügyi ellátást igénylő vazookkluzív krízisek éves gyakorisága tekintetében. Hasonló eredmények születtek az egészségügyi ellátást vagy otthoni kezelést igénylő krízisek esetében: 4,7; 95%-os CI: (3,60; 6,14) az Adakveo alkalmazása mellett, 3,9; 95%-os CI: (3,00; 5,01) placebo alkalmazása mellett.
- Az egészségügyi szakemberek nem adhatnak Adakveo-t új betegek számára.
- A jelenleg Adakveo-val kezelt betegek esetében az egészségügyi szakembereknek tájékoztatniuk kell a betegeket arról, hogy a gyógyszert kivonják a forgalomból, ennek okairól, valamint meg kell beszélniük velük a más megfelelő kezeléseket.

A gyógyszert felíró, kiadó vagy alkalmazó egészségügyi szakemberek a fenti ajánlásokat magában foglaló, egészségügyi szakembereknek szóló közvetlen közleményt (DHPC) kaptak. A DHPC-t az EMA honlapjának [erre a célra fenntartott oldalán](#) is közzétették.

További információk a gyógyszerről

Az Adakveo-t a sarlósejtes betegségben szenvedő, 16 éves és idősebb betegeknél fellépő fájdalmas krízisek megelőzésére alkalmazzák. A sarlósejtes betegség egy genetikai rendellenesség, melynek során a vörösvérsejtek rugalmatlanná és tapadóssá válnak, és formájuk korong alakúról sarló alakúra változik.

A gyógyszerről további információ az [EMA honlapján](#) található.

További információ az eljárásról

Az Adakveo felülvizsgálatát az Európai Bizottság kérésére kezdeményezték a 726/2004/EK rendelet 20. cikke alapján.

A felülvizsgálatot az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP), az emberi felhasználásra szánt gyógyszereket érintő kérdésekben felelős bizottság végezte, amely elfogadta az Ügynökség véleményét. A CHMP véleményét továbbították az Európai Bizottsághoz, amely az EU minden tagállamában érvényes, végleges, jogilag kötelező határozatot adott ki.