



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025. február 28.
EMA/77307/2025
EMA/H/C/006169

A Kizfizo-ra (temozolomid) vonatkozó forgalomba hozatali engedély elutasítása

A felülvizsgálat megerősíti az elutasítást

Az Európai Gyógyszerügynökség eredeti véleményének felülvizsgálatát követően megerősítette a Kizfizo-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítására irányuló ajánlását. A gyógyszert neuroblasztómában, az idegsejtek daganatos megbetegedésében szenvedő gyermekek kezelésére szánták.

Az Ügynökség a felülvizsgálatot követően 2025. február 27-én adta ki véleményét. Az Ügynökség az eredeti véleményét 2024. november 14-én adta ki. A Kizfizo engedélyezését kérelmező vállalat az Orphelia Pharma.

Milyen típusú gyógyszer a Kizfizo és milyen alkalmazásra szánták?

A Kizfizo-t daganatellenes gyógyszerként fejlesztették ki a magas kockázatú neuroblasztómában szenvedő gyermekek kezelésére 1 évesnél idősebb gyermekeknél. Egy másik daganatellenes gyógyszerrel, irinotekánnal vagy topotekánnal kombinálva tervezték alkalmazni a következő esetekben:

- olyan gyermekek, akiknél a neuroblasztóma kemoterápia (a rák kezelésére alkalmazott egyéb gyógyszerek) hatására nem javult;
- azok a gyermekek, akiknek a betegsége kiújult és súlyosbodik, miután korábban kemoterápiát és őssejt-transzplantációt kaptak (amikor a beteg vértermelő sejtjeit lecserélik).

A Kizfizo hatóanyagként temozolomidot tartalmaz, és „hibrid” gyógyszerként fejlesztették ki. Ez azt jelenti, hogy hasonló a referencia-gyógyszerhez abban a tekintetben, hogy ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza, de vannak bizonyos különbségek a két gyógyszer között.

Míg a referencia-gyógyszer, a Temodal kapszula vagy vénába adandó oldatos infúzió készítésére szolgáló por formájában kapható, a Kizfizo folyadék, amelyet szájon át vagy egy, az orrból a gyomorba vezető csövön keresztül kell bevenni.

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



A Kizfizo-t 2019. augusztus 21-én a neuroblasztóma tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Hogyan fejti ki hatását a Kizfizo?

A Kizfizo hatóanyaga, a temozolomid egy alkiláló szer. A szervezetben egy másik, MTIC nevű vegyületté alakul át. Az MTIC úgy módosítja a DNS-t, hogy megakadályozza a sejtek osztódását, így azok elpusztulnak. Ezáltal a temozolomid várhatóan lelassítja a neuroblasztóma növekedését.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A referencia-gyógyszert, a Temodal-t egy másik daganat (glioblasztóma) kezelésére engedélyezték, de a neuroblasztóma kezelésére alkalmazzák. A vállalat elvégzett egy vizsgálatot annak megállapítására, hogy a Kizfizo „biológiaiailag egyenértékű”-e a Temodal-lal. Két gyógyszer akkor biológiaiailag egyenértékű, ha ugyanolyan hatóanyagszintet eredményeznek a szervezetben, így hatásuk várhatóan egyezik.

A vállalat egy olyan klinikai vizsgálat eredményeit is benyújtotta, amelyben 102, neuroblasztómában szenvedő, legfeljebb 21 éves beteg vett részt, akik kizárólag temozolomidot, illetve irinotekánnal vagy topotekánnal kombinációban kaptak. A hatásosság fő mutatója a kezelésre adott válasz volt. A vállalat ezeket az eredményeket egy olyan megfigyeléses vizsgálat eredményeivel támasztotta alá, amelybe temozolomiddal kezelt, neuroblasztómában szenvedő gyermekeket vontak be.

Melyek voltak a forgalombahozatali engedély elutasításának fő okai?

Az Ügynökség megjegyezte, hogy mind a klinikai, mind a megfigyeléses vizsgálatokban (amelyek nem hasonlították össze a temozolomidot más kezeléssel) a temozolomid és irinotekán vagy topotekán kombinációjára reagáló betegek aránya túl mérsékelt volt annak bizonyításához, hogy a gyógyszer előnyös a betegek számára. Továbbá az e vizsgálatokból származó adatok alapján nem lehetett meghatározni a temozolomid hatását.

Ezért az Ügynökség azon a véleményen volt, hogy neuroblasztómában szenvedő gyermekek kezelése esetében a Kizfizo előny-kockázat profilja nem állapítható meg.

A vállalat kérését követően a CHMP felülvizsgálta a rendelkezésre álló adatokat, és egy szakértői csoport tanácsát is kikérte, akiket a gyógyszer előnyeivel kapcsolatos számos kérdés megválaszolására kértek fel. Mivel a bizottság aggályait nem sikerült eloszlatni, az eredeti elutasítást a felülvizsgálatot követően megerősítették.

Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy az elutasításnak a Kizfizo-val végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.