



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025 m. vasario 28 d.
EMA/77307/2025
EMA/H/C/006169

Atsisakymas suteikti Kizfizo (temozolomido) registracijos pažymėjimą

Po pakartotinio nagrinėjimo patvirtinta nepalanki nuomonė

Pakartotinai išnagrinėjusi savo pirminę nuomonę, Europos vaistų agentūra patvirtino rekomendaciją neišduoti vaistinio preparato Kizfizo registracijos pažymėjimo. Šis vaistinis preparatas buvo skirtas neuroblastoma (nervų ląstelių vėžiu) sergantiems vaikams gydyti.

Agentūra paskelbė savo nuomonę po pakartotinio nagrinėjimo 2025 m. vasario 27 d. Pirminę nuomonę Agentūra buvo paskelbusi 2024 m. lapkričio 14 d. Paraišką gauti Kizfizo registracijos pažymėjimą pateikė bendrovė „Orphelia Pharma“.

Kas yra Kizfizo ir kam jis buvo skirtas?

Kizfizo buvo sukurtas kaip vaistas nuo vėžio, skirtas gydyti vyresnius nei 1 metų vaikus, sergančius didelės rizikos neuroblastoma. Jis turėjo būti vartojamas kartu su kitu vaistu nuo vėžio irinotekanu arba topotekanu:

- vaikams, kurių neuroblastoma nepalengvėjo taikant chemoterapiją (kitus vaistus nuo vėžio);
- vaikams, kurių liga po anksčiau taikytos chemoterapijos ir kamieninių ląstelių transplantacijos (procedūros, kurios metu pakeičiamos paciento kraują gaminančios ląstelės) atsinaujino ir sunkėja.

Kizfizo sudėtyje yra veikliosios medžiagos temozolomido ir jis buvo sukurtas kaip hibridinis vaistas. Tai reiškia, kad jis panašus į referencinį vaistą, kuriame yra tokios pačios veikliosios medžiagos, bet tarp šių abiejų vaistų yra tam tikrų skirtumų.

Referencinis vaistas Temodal tiekiamas kapsulių arba miltelių, iš kurių ruošiamas infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas, forma; Kizfizo yra skystis, kurį reikia vartoti per burną arba per nosį su skrandžiu jungiantį vamzdelį.

2019 m. rugpjūčio 21 d. Kizfizo buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal neuroblastomos gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [Agentūros tinklalapyje](#).



Kaip veikia Kizfizo?

Kizfizo veiklioji medžiaga temozolomidas yra alkilizuojanti medžiaga. Patekęs į organizmą šis vaistas virsta kitu junginiu, vadinamu MTIC. MTIC pakeičia DNR taip, kad ląstelės nustoja dalytis ir žūsta. Taip temozolomidas turėtų sulėtinti neuroblastomos augimą.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Referencinis vaistas Temodal įregistruotas pagal kito vėžio (glioblastomos) gydymo indikaciją, tačiau juo gydoma neuroblastoma. Bendrovė atliko tyrimą, kuriuo siekta nustatyti, ar Kizfizo yra biologiškai ekvivalentiškas Temodal. Du vaistai yra biologiškai ekvivalentiški, kai jie organizme išskiria tiek pat veikliosios medžiagos, todėl jų poveikis turėtų būti toks pat.

Bendrovė taip pat pateikė klinikinio tyrimo, kuriame dalyvavo 102 neuroblastoma sergantys ne vyresni kaip 21 metų pacientai, kuriems temozolomidas buvo skiriamas vienas ir kartu su irinotekanu arba topotekanu, rezultatus. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo atsakas į gydymą. Šiuos nustatytus faktus bendrovė patvirtino pateikdama stebimojo tyrimo, kuriame dalyvavo temozolomidu gydyti neuroblastoma sergantys vaikai, rezultatus.

Kokios buvo pagrindinės priežastys, dėl kurių rekomenduota neišduoti registracijos pažymėjimo?

Agentūra atkreipė dėmesį į tai, kad atliekant ir klinikinius, ir stebimuosius tyrimus (kuriuose temozolomidas nebuvo lyginamas su jokių kitų vaistų) pacientų, kuriems pasireiškė atsakas į gydymą temozolomido ir irinotekano arba topotekano deriniu, dalis buvo pernelyg maža, kad būtų galima įrodyti jo naudą pacientams. Be to, temozolomido poveikio nebuvo galima nustatyti remiantis šių tyrimų duomenimis.

Todėl Agentūra laikėsi nuomonės, kad negalima nustatyti Kizfizo naudos ir rizikos santykio neuroblastoma sergančių vaikų gydymui.

Bendrovės prašymu CHMP pakartotinai išnagrinėjo turimus duomenis ir taip pat konsultavosi su ekspertų grupe, kurios buvo paprašyta išnagrinėti kelis su vaisto nauda susijusius klausimus. Kadangi komitetui susirūpinimą keliantys klausimai nebuvo išspręsti, po pakartotinio nagrinėjimo buvo patvirtinta pirminė rekomendacija nesuteikti registracijos pažymėjimo.

Ar šis atsisakymas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems Kizfizo klinikiniuose tyrimuose.

Jei dalyvaujate klinikiname tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, pasitarkite su klinikinio tyrimo gydytoju.