



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/189753/2022  
EMA/H/C/002464

## Jakavi (*ruksolitynib*)

Przegląd wiedzy na temat leku Jakavi i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Czym jest lek Jakavi i w jakim celu się go stosuje

Jakavi jest lekiem wykorzystywanym w leczeniu następujących chorób:

- splenomegalia (powiększenie śledziony) lub inne objawy związane z chorobą, takie jak gorączka, poty nocne, ból kości i utrata masy ciała u osób dorosłych z włóknieniem szpiku. Włóknienie szpiku to choroba, w której szpik kostny staje się bardzo gęsty i sztywny oraz wytwarza nieprawidłowe, niedojrzałe krwinki;
- nadkrwistość prawdziwa u osób dorosłych opornych na leczenie hydroksykarbamidem (zwanym również hydroksymocznikiem) lub które powoduje działania niepożądane nie do zaakceptowania. Nadkrwistość prawdziwa to choroba powodująca wytwarzanie zbyt dużej liczby krwinek czerwonych, co może skutkować ograniczonym przepływem krwi do organów z powodu zgęstnienia krwi i czasami powstawaniem skrzepów.
- ostra lub przewlekła choroba przeszczep przeciw gospodarzowi (gdy przeszczepione komórki atakują organizm) u osób w wieku 12 lat i starszych, u których wykonano przeszczep i u których kortykosteroidy lub inne terapie układowe (leczenie doustne lub wstrzyknięcie) nie działały wystarczająco dobrze.

Substancją czynną zawartą w leku Jakavi jest ruksolitynib.

### Jak stosować lek Jakavi

Lek wydawany na receptę. Terapię lekiem Jakavi powinien przepisywać lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów za pomocą leków przeciwnowotworowych.

Lek Jakavi jest dostępny w postaci tabletek przyjmowanych dwa razy na dobę. Zalecana dawka zależy od choroby, w której lek jest stosowany.

W przypadku wystąpienia pewnych działań niepożądanych należy zmniejszyć dawkę lub przerwać leczenie.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Więcej informacji o sposobie stosowania leku Jakavi znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

## **Jak działa lek Jakavi**

Substancja czynna leku Jakavi, ruksolitynib, działa przez blokowanie grupy enzymów znanych jako kinazy Janusowe (JAK), które biorą udział w produkcji i wzroście krwinek. We włóknieniu szpiku i w nadkrwistości prawdziwej aktywność enzymów JAK jest zbyt duża, co prowadzi do nieprawidłowego wytwarzania krwinek. Krwinki te migrują do narządów, w tym śledziony, powodując powiększenie narządów. JAK uczestniczą również w rozwoju i aktywacji krwinek, które odgrywają rolę w chorobie przeszczep przeciwko gospodarzowi. Przez blokowanie JAK lek Jakavi ogranicza nieprawidłowe wytwarzanie krwinek, tym samym łagodząc objawy chorób.

## **Korzyści ze stosowania leku Jakavi wykazane w badaniach**

### **Włóknienie szpiku**

W przypadku włóknienia szpiku, w dwóch badaniach głównych z udziałem 528 pacjentów, lek Jakavi był skuteczniejszy od placebo i najlepszego dostępnego leczenia pod względem zmniejszania rozmiaru śledziony. W pierwszym badaniu osiągnięto docelowe zmniejszenie rozmiaru śledziony o 35% u 42% (65 ze 155) pacjentów poddanych terapii lekiem Jakavi w porównaniu z mniej niż 1% (1 ze 153) pacjentów otrzymujących placebo. W drugim badaniu po roku osiągnięto docelowe zmniejszenie rozmiaru śledziony o 35% u 29% (41 ze 144) pacjentów poddanych terapii lekiem Jakavi, natomiast w przypadku 72 pacjentów przyjmujących najlepsze dostępne leczenie, takie jak leki przeciwnowotworowe, hormony i leki immunosupresyjne, nie osiągnięto takiego zmniejszenia rozmiaru.

### **Nadkrwistość prawdziwa**

Jakavi przyczynił się do poprawy stanu zdrowia pacjentów w jednym badaniu głównym z udziałem 222 pacjentów, u których leczenie hydroksykarbamidem nie powiodło się lub wywołało działania niepożądane nie do zaakceptowania. Poprawę mierzono jako zapotrzebowanie na mniej niż jedną flebotomię (usunięcie nadmiaru krwi z organizmu) oraz na podstawie zmniejszenia rozmiaru śledziony o 35%. W badaniu tym u 21% (23 ze 110) pacjentów poddanych terapii lekiem Jakavi wystąpiła poprawa po 8 miesiącach leczenia w porównaniu z 1% (1 ze 112) pacjentów otrzymujących najlepsze dostępne leczenie.

### **Choroba przeszczep przeciw gospodarzowi**

W dwóch badaniach głównych lek Jakavi był skuteczny w zmniejszaniu objawów zarówno ostrej, jak i przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi.

W pierwszym badaniu uczestniczyło 309 pacjentów z ostrą chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi po allogenicznym przeszczepie komórek macierzystych (z wykorzystaniem komórek macierzystych pobranych od dawcy), u których leczenie kortykosteroidami nie powiodło się. Oceniano w nim odsetek pacjentów, u których stwierdzono złagodzenie objawów (odpowiedź częściowa) lub brak objawów (odpowiedź całkowita) po 4 tygodniach terapii lekiem Jakavi lub najlepszego dostępnego leczenia dla danej choroby. W badaniu tym u 62% (96 ze 154) pacjentów poddanych terapii lekiem Jakavi wystąpiła pełna lub częściowa odpowiedź na leczenie w porównaniu z 39% (61 ze 155) pacjentów poddanych innej terapii.

W drugim badaniu wzięło udział 329 pacjentów z przewlekłą chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi po allogenicznym przeszczepie komórek macierzystych, u których leczenie

kortykosteroidami nie powiodło się. W tym badaniu po 24 tygodniach leczenia u 50% (82 ze 165) pacjentów poddanych terapii lekiem Jakavi wystąpiła odpowiedź całkowita lub częściowa, w porównaniu z 26% (42 ze 164) pacjentów otrzymujących najlepsze dostępne leczenie w związku z tą chorobą.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Jakavi**

We włóknieniu szpiku najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Jakavi (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: małopłytkowość (niska liczba płytek krwi), niedokrwistość (niska liczba krwinek czerwonych), neutropenia (niska liczba neutrofilów), krwawienie, zasinienie, hipertrójglicydemia (podwyższone stężenie tłuszczów we krwi), zawroty głowy oraz podwyższone stężenie enzymów wątrobowych.

W nadkrwistości prawdziwej najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Jakavi (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: małopłytkowość, niedokrwistość, przyrost masy ciała, ból głowy, zawroty głowy, hipercholesterolemia (wysokie stężenie cholesterolu we krwi) oraz podwyższone stężenie enzymów wątrobowych.

W przypadku ostrej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Jakavi (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: małopłytkowość, niedokrwistość, neutropenia, zakażenie wirusem cytomegalii, posocznica (gdy we krwi krążą bakterie i ich toksyny prowadzące do uszkodzenia narządów), zakażenia dróg moczowych, hipercholesterolemia oraz podwyższone stężenie enzymów wątrobowych.

W przypadku przewlekłej choroby przeszczep przeciw gospodarzowi najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Jakavi (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: małopłytkowość, niedokrwistość, neutropenia, nadciśnienie, ból głowy, zakażenia dróg moczowych, hipercholesterolemia oraz podwyższone stężenie enzymów wątrobowych.

Kobietom w ciąży lub karmiącym piersią nie wolno przyjmować leku Jakavi. Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Jakavi znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Jakavi w UE**

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Jakavi przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

W przypadku włóknienia szpiku zmniejszenie rozmiaru śledziony i ograniczenie objawów jest klinicznie istotne i wpływa na poprawę ich jakości życia u pacjentów przyjmujących lek Jakavi. W przypadku nadkrwistości prawdziwej Agencja uznała, że terapia lekiem Jakavi jest korzystna dla pacjentów, u których leczenie hydroksykarbamidem nie powiodło się lub powoduje występowanie działań niepożądanych nie do zaakceptowania. W leczeniu choroby przeszczep przeciw gospodarzowi wykazano, że lek Jakavi łagodzi objawy.

Pod względem bezpieczeństwa Agencja uznała, że działania niepożądane leku Jakavi można kontrolować we właściwy sposób.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Jakavi**

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Jakavi w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Jakavi są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Jakavi są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące leku Jakavi**

Lek Jakavi otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 23 sierpnia 2012 r.

Dalsze informacje na temat leku Jakavi znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/jakavi](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/jakavi).

Data ostatniej aktualizacji: 04.2022.