



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701116/2017
EMA/H/C/006071

Ogsiveo (*nirogacestat*)

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

Czym jest lek Ogsiveo i w jakim celu się go stosuje

Ogsiveo jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych z postępującymi guzami desmoidalnymi, które wymagają leczenia ogólnoustrojowego (leków przemieszczających się przez układ krwionośny i wpływających na cały organizm).

Guzy desmoidalne rozwijają się z miękkich, podporowych tkanek organizmu. Mogą szybko rosnąć i uszkadzać pobliskie tkanki i narządy.

Za względu na to, że guzy desmoidalne są chorobą rzadko występującą, w dniu 17 października 2019 r. lek Ogsiveo uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocę można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Ogsiveo jest nirogacestat.

Jak stosować lek Ogsiveo

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w stosowaniu terapii przeciwnowotworowych.

Lek jest dostępny w postaci tabletek do przyjmowania doustnego dwa razy na dobę. Leczenie można kontynuować, dopóki pacjent odnosi z niego korzyści i nie występują niemożliwe do zaakceptowania działania niepożądane.

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

Jak działa lek Ogsiveo

Substancja czynna leku Ogsiveo, nirogacestat, blokuje aktywność enzymu (rodzaju białka) o nazwie gamma-sekretaza. Enzym ten zazwyczaj aktywuje białko o nazwie Notch, które występuje na powierzchni komórek i uczestniczy we wzroście komórek.

Blokując gamma-sekretazę, nirogacestat zapobiega aktywacji białka Notch i spowalnia wzrost guzów.

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



Korzyści ze stosowania leku Ogsiveo wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 142 osób z postępującymi guzami desmoidalnymi stosowanie leku Ogsiveo porównywano ze stosowaniem placebo (leczenia pozorowanego). Głównym kryterium oceny skuteczności był czas przeżycia pacjentów bez progresji choroby (czas przeżycia pacjentów bez pogorszenia się choroby).

Na podstawie dostępnych danych oceniono, że po 12 miesiącach u około 85% pacjentów, którzy otrzymywali lek Ogsiveo, nie doszło do pogorszenia stanu choroby ani zgonu, w porównaniu z około 53% pacjentów, którym podano placebo.

Ponadto w badaniu oceniano wpływ leku Ogsiveo na rozmiar guzów (ogólny wskaźnik odpowiedzi). Guzy zmniejszyły się u około 41% (29 z 70) osób przyjmujących lek Ogsiveo, w porównaniu z około 8% (6 z 72) osób przyjmujących placebo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Ogsiveo

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Ogsiveo znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Ogsiveo (mogące wystąpić częściej niż u 4 na 10 pacjentów) to: biegunka, wysypka, nudności (mdłości), zmęczenie, hipofosfatemia (niskie stężenie fosforanów we krwi), ból głowy, zapalenie jamy ustnej i uszkodzenie jajników u kobiet w wieku rozrodczym.

Niektóre działania niepożądane mogą być poważne. Najczęstsze poważne działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku Ogsiveo (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to przedwczesna menopauza.

Leku Ogsiveo nie wolno stosować w okresie ciąży ani u kobiet, które mogłyby zajść w ciążę i nie stosują wysoce skutecznych środków antykoncepcyjnych, ani u kobiet karmiących piersią.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Ogsiveo w UE

Wykazano, że lek Ogsiveo spowalnia nasilanie się postępujących guzów desmoidalnych – choroby, w przypadku której w momencie przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu nie istniał inny zatwierdzony lek ani standardowe leczenie.

W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania lek Ogsiveo może mieć szkodliwy wpływ na nienarodzone dziecko w przypadku przyjmowania leku w okresie ciąży. Ryzyko to jest jednak minimalizowane za pomocą rygorystycznych środków, w tym wymogu stosowania wysoce skutecznej antykoncepcji. Nie ma pewności co do tego, w jaki sposób lek Ogsiveo może działać szkodliwie na jajniki i jądra, oraz co do jego potencjalnego wpływu na płodność. Ryzyko to jest wymienione w drukach informacyjnych, a firma musi przedstawić dodatkowe dane w celu dalszej oceny tego ryzyka. Ogólnie rzecz biorąc, działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Ogsiveo uznaje się za dopuszczalne, biorąc pod uwagę brak możliwości terapeutycznych i można je kontrolować poprzez dostosowanie dawki.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Ogsiveo przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ogsiveo

W celu zapewnienia bezpiecznego stosowania leku Ogsiveo firma wprowadzająca lek do obrotu musi udostępnić przewodnik dla personelu medycznego i kartę dla pacjentów. Materiały te wyjaśniają, że przyjmowanie leku Ogsiveo w czasie ciąży może szkodzić nienarodzonemu dziecku, i dostarczają wskazówek, jak zapobiegać temu ryzyku. Poinformują one personel medyczny i osoby stosujące lek, że kobiety mogące zajść w ciążę, a także mężczyźni z partnerkami, którzy mogą zajść w ciążę, muszą stosować wysoce skuteczną antykoncepcję w trakcie stosowania leku Ogsiveo i przez tydzień po przyjęciu ostatniej dawki.

Poradnik poinformuje personel medyczny, że przed rozpoczęciem stosowania leku Ogsiveo wymagany jest ujemny wynik testu ciążowego. Będzie im również przypominać, że lek Ogsiveo może zmniejszać skuteczność hormonalnych środków antykoncepcyjnych. Karta pacjenta będzie zawierała informację o konieczności natychmiastowego kontaktu z lekarzem w razie podejrzenia zajścia w ciążę podczas przyjmowania leku Ogsiveo.

Firma, która wprowadza Ogsiveo do obrotu, musi również zoptymalizować formulację leku i sposób jego produkcji, aby zapewnić, że poziomy zanieczyszczeń mieści się w dopuszczalnym zakresie.

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

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Ogsiveo są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Ogsiveo są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Ogsiveo

Dalsze informacje dotyczące leku Ogsiveo znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ogsiveo.

Data ostatniej aktualizacji: 08.2025.