



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/54220/2026
EMA/H/C/006140

Ojemda (*toworafenib*)

Przegląd wiedzy na temat leku Ojemda i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE w przystępnym języku

Czym jest lek Ojemda i w jakim celu się go stosuje

Ojemda jest lekiem stosowanym w leczeniu pacjentów w wieku od 6 miesięcy z glejakiem (rodzajem nowotworu mózgu) wieku dziecięcego o niskim stopniu złośliwości. Lek można stosować w przypadku, gdy guz wykazuje określone zmiany w genie *BRAF* (takie jak fuzja lub rearanżacja genu *BRAF* lub mutacja V600) u pacjentów, u których choroba uległa postępowi pomimo zastosowania wcześniej co najmniej jednego rodzaju terapii ogólnoustrojowej (leków oddziałujących na cały organizm).

Ze względu na to, że glejak jest chorobą rzadko występującą, w dniu 20 maja 2021 r. lek Ojemda uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Ojemda jest toworafenib.

Jak stosować lek Ojemda

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w stosowaniu leków przeciwnowotworowych. Przed rozpoczęciem leczenia u pacjentów należy wykonać badanie na potwierdzenie, że występujące u nich komórki nowotworowe wykazują fuzję lub rearanżację genu *BRAF* lub mutację V600.

Lek Ojemda jest dostępny w postaci tabletek oraz proszku do sporządzania zawiesiny doustnej (płynu do wypicia). Lek należy przyjmować doustnie raz w tygodniu, podczas posiłku lub niezależnie od posiłków.

Stosowanie leku Ojemda należy kontynuować dopóki pacjent odnosi z niego korzyści, lub do czasu wystąpienia niedopuszczalnych działań niepożądanych.

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

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



Jak działa lek Ojemda

U pacjentów z glejakiem o niskim stopniu złośliwości, u których nowotwór wykazuje określone zmiany w genie *BRAF*, w tym mutacje *BRAF* V600, fuzje i rearanżacje *BRAF*, białka RAF sprzyjają rozrostowi i namnażaniu się komórek nowotworowych. Substancja czynna leku Ojemda, towarafenib, działa poprzez blokowanie białek RAF. W ten sposób, towarafenib pomaga spowolnić lub zatrzymać przekazywanie treści w komórkach, które powodują wzrost guza.

Korzyści ze stosowania leku Ojemda wykazane w badaniach

W badaniu głównym wykazano, że lek Ojemda jest skuteczny w leczeniu glejaka wieku dziecięcego o niskim stopniu złośliwości, u dzieci i młodzieży, u których nowotwór wykazywał zmiany w genie *BRAF* i u których choroba uległa postępowi pomimo wcześniejszego stosowania co najmniej jednego rodzaju terapii o działaniu ogólnoustrojowym.

W badaniu wzięło udział 77 pacjentów, a leku Ojemda nie porównywano z żadnym innym lekiem ani z placebo (leczeniem pozorowanym). U czterdziestu (52,6%) pacjentów uzyskano odpowiedź w pewnym momencie podczas cotygodniowego podawania leku Ojemda, a odpowiedź utrzymywała się średnio przez 18 miesięcy. U żadnego pacjenta nie wystąpiła pełna odpowiedź (zanik guza i brak nowych zmian), u 29 pacjentów wystąpiła częściowa odpowiedź (zmniejszenie wielkości guza o co najmniej 50% i brak nowych zmian), a u 11 – nieznaczna odpowiedź (zmniejszenie wielkości guza o 25–49% i brak nowych zmian).

Badania dotyczące leku Ojemda opisano bardziej szczegółowo w sprawozdaniu oceniającym lek.

Jakie są działania niepożądane i ograniczenia związane ze stosowaniem leku Ojemda?

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Ojemda (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: zmiany koloru włosów, zwiększenie aktywności fosfokinazy kreatynowej we krwi (enzymu uwalnianego do krwi w przypadku uszkodzenia mięśni), zmęczenie, niedokrwistość (niskie stężenie czerwonych krwinek), wymioty, niskie stężenie fosforanów we krwi, ból głowy, wysypka, gorączka, zahamowanie wzrostu, suchość skóry, podwyższone stężenie enzymów wątrobowych (aminotransferazy asparaginianowej i dehydrogenazy mleczanowej), nudności, zaparcia, zakażenie górnych dróg oddechowych (nosa i gardła), trądzikopodobne zapalenie skóry (zapalenie skóry przypominające trądzik), krwawienie z nosa, zmniejszony apetyt i zanokcica (zakażenie łóżyska paznokcia).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Ojemda w UE

W momencie dopuszczenia leku Ojemda do obrotu możliwości leczenia pacjentów z glejakiem o niskim stopniu złośliwości, w tym zabiegu chirurgicznego i chemioterapii, były ograniczone. Ponadto ukierunkowana terapia była dostępna wyłącznie dla pacjentów z nowotworami, u których występowała mutacja *BRAF* V600E, a w przypadku pacjentów, u których po zastosowaniu tego leczenia choroba uległa postępowi, nie były dostępne żadne dalsze możliwości leczenia. Chociaż dane uzyskano z badania, w którym leku Ojemda nie porównywano z innym leczeniem, wykazano skuteczność tego leku u dzieci i młodzieży z glejakiem wieku dziecięcego o niskim stopniu złośliwości, u których nowotwór wykazywał zmiany w genie *BRAF* i u których choroba uległa postępowi pomimo zastosowania wcześniej co najmniej jednego rodzaju terapii ogólnoustrojowej. W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania

działania niepożądane uznano za możliwe do kontrolowania za pomocą odpowiedniego monitorowania i modyfikacji dawki.

Lek Ojemda uzyskał warunkowe dopuszczenie do stosowania w UE. Oznacza to, że lek został dopuszczony do obrotu na podstawie mniej wyczerpujących danych niż te, które są zwykle wymagane, ponieważ spełnia niezaspokojoną potrzebę medyczną. Europejska Agencja Leków uważa, że korzyści z wcześniejszego udostępnienia leku przewyższają ryzyko związane z jego stosowaniem w oczekiwaniu na dalsze dowody.

Firma musi przedstawić dodatkowe dane dotyczące leku Ojemda. Musi ona przedstawić ostateczne wyniki trwającego badania klinicznego nad glejakiem wieku dziecięcego o niskim stopniu złośliwości u dzieci w wieku od 6 miesięcy, porównującego skuteczność i bezpieczeństwo stosowania leku Ojemda z chemioterapią. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ojemda

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

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

Inne informacje dotyczące leku Ojemda

Dalsze informacje dotyczące leku Ojemda, w tym ulotka dołączona do opakowania i sprawozdanie oceniające, znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ojemda.

W celu uzyskania informacji na temat dostępności tego leku w danym kraju należy skontaktować się z właściwym organem krajowym.