



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/159423/2023  
EMA/H/C/005130

## Pedmarqsi (*tiosiarczan sodu*)

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

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

Pedmarqsi jest lekiem stosowanym u dzieci w wieku od 1. miesiąca życia do mniej niż 18 lat w celu zmniejszenia ryzyka utraty słuchu spowodowanej stosowaniem leku przeciwnowotworowego cisplatyny w leczeniu guzów litych niedających przerzutów.

Substancją czynną zawartą w leku Pedmarqsi jest tiosiarczan sodu.

### Jak stosować lek Pedmarqsi

Lek wydawany na receptę. Lek Pedmarqsi jest przeznaczony do stosowania wyłącznie w warunkach szpitalnych, pod nadzorem odpowiednio wykwalifikowanego lekarza. Lek podaje się we wlewie dożylnym (kroplówce) trwającym 15 minut, dokładnie 6 godzin po podaniu cisplatyny.

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

### Jak działa lek Pedmarqsi

Sposób działania leku Pedmarqsi nie jest w pełni poznany, ale uważa się, że substancja czynna, tiosiarczan sodu, działa poprzez wiązanie się z cisplatiną i blokowanie działania cisplatyny, która nie została wychwycona przez komórki, oraz zapobieganie uszkodzeniu komórek przez cząsteczki znane jako „wolne rodniki tlenowe”. Oczekuje się, że te połączone działania pomogą chronić ucho przed utratą słuchu spowodowaną cisplatiną.

### Korzyści ze stosowania leku Pedmarqsi wykazane w badaniach

W dwóch badaniach stwierdzono, że lek Pedmarqsi zmniejsza ryzyko utraty słuchu u dzieci w wieku od 1 miesiąca do 18 lat, które otrzymywały cisplatinę w leczeniu guzów litych.

---

**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



W pierwszym badaniu uczestniczyło 114 dzieci z wątrobiakiem zarodkowym (nowotwór wątroby), których średni wiek wynosił około 19 miesięcy. Na podstawie wyników stwierdzono, że utrata słuchu wystąpiła u 35% (20 z 57) dzieci, które otrzymywały lek Pedmarqsi 6 godzin po podaniu każdej dawki cisplatyny, w porównaniu z 67% (35 z 52) dzieci, które otrzymywały wyłącznie cisplatynę.

W drugim badaniu wzięło udział 125 dzieci w wieku od 1 miesiąca do 18 lat z różnymi rodzajami nowotworów, w tym z wątrobiakiem zarodkowym, nerwiakiem zarodkowym (nowotworem niedojrzałych komórek nerwowych) i nowotworami ośrodkowego układu nerwowego. W badaniu stwierdzono, że utrata słuchu wystąpiła u 29% (14 z 49) dzieci, które otrzymywały lek Pedmarqsi po każdej dawce cisplatyny, w porównaniu z 56% (31 z 55) dzieci, które otrzymywały wyłącznie cisplatynę.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Pedmarqsi**

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Pedmarqsi (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: wymioty, mdłości (nudności), hipernatremia (wysokie stężenie sodu we krwi), hipofosfatemia (niskie stężenie fosforanów we krwi) oraz hipokaliemia (niskie stężenie potasu we krwi).

Najczęstsze poważne działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Pedmarqsi (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to nadwrażliwość (reakcje alergiczne).

Leku Pedmarqsi nie wolno stosować u niemowląt w wieku poniżej 1 miesiąca życia.

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

Utrata słuchu spowodowana cisplatyną jest ważnym problemem klinicznym, w związku z którym w momencie dopuszczenia leku Pedmarqsi do obrotu nie było dostępnych opcji leczenia. Wykazano, że lek Pedmarqsi zapobiega utracie słuchu u dzieci i młodzieży spowodowanej stosowaniem cisplatyny w leczeniu niektórych nowotworów. Ponadto profil bezpieczeństwa leku Pedmarqsi jest zgodny z profilem bezpieczeństwa tiosiarczanu sodu w przypadku podawania go w innych zastosowaniach i uznaje się go za dopuszczalny. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Pedmarqsi przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

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

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Pedmarqsi 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 Pedmarqsi są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Pedmarqsi są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące leku Pedmarqsi**

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