



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMADOC-1829012207-33715
EMA/H/C/005605

Scemblix (*asciminib*)

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

Czym jest lek Scemblix i w jakim celu się go stosuje

Scemblix jest lekiem przeciwnowotworowym. Lek stosuje się w leczeniu przewlekłej białaczki szpikowej (ang. *chronic myeloid leukaemia*, CML), nowotworu białych krwinek, w fazie przewlekłej (kiedy nowotwór rozwija się powoli, a u pacjenta występuje niewiele objawów lub nie występują one wcale).

Można go stosować u osób dorosłych z nowotworem, w przypadku którego występuje chromosom Filadelfia (Ph+). Ph+ oznacza, że dwa z chromosomów pacjenta zmieniły swój układ i utworzyły specjalny chromosom zwany chromosomem Filadelfia. Chromosom ten wytwarza enzym (białko), kinazę BCR::ABL1, który prowadzi do rozwoju białaczki.

Ze względu na to, że CML jest chorobą rzadko występującą, w dniu 24 marca 2020 r. lek Scemblix uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2261>

Substancją czynną zawartą w leku Scemblix jest asciminib.

Jak stosować lek Scemblix

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno być rozpoczynane przez lekarza doświadczonego w rozpoznawaniu i leczeniu pacjentów z białaczką.

Lek ma postać tabletek przyjmowanych doustnie raz albo dwa razy na dobę. W przypadku wystąpienia pewnych działań niepożądanych lekarz może wstrzymać leczenie i zmniejszyć dawkę. Leczenie można przerwać, jeżeli pacjent nie toleruje leczenia zmniejszoną dawką.

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

Jak działa lek Scemblix

Substancja czynna leku Scemblix, asciminib, jest inhibitorem kinazy tyrozynowej (TKI), co oznacza, że blokuje enzymy znane jako kinazy tyrozynowe. W przypadku CML Ph+ organizm wytwarza dużą liczbę



nieprawidłowych białych krwinek. Lek Scemblix blokuje w szczególności działanie kinazy tyrozynowej BCR::ABL1 wytwarzanej przez te komórki, co hamuje ich podział i wzrost.

Korzyści ze stosowania leku Scemblix wykazane w badaniach

Korzyści ze stosowania leku Scemblix oceniano w badaniu z udziałem 233 osób dorosłych z CML Ph+ w fazie przewlekłej, leczonych wcześniej dwoma inhibitorami kinazy tyrozynowej lub większą ich liczbą. W badaniu tym wykazano, że lek Scemblix był skuteczniejszy od bosutynibu (innego inhibitora kinazy tyrozynowej) — po 24 tygodniach leczenia u 25% (40 ze 157) pacjentów, którym podawano lek Scemblix, wystąpiła wyraźna odpowiedź molekularna (co oznacza, że liczba komórek z genem *BCR::ABL1* zmniejszyła się do 1000 razy poniżej standardowej wartości wyjściowej), w porównaniu z 13% (10 z 76) pacjentów, którym podawano bosutynib. Po 96 tygodniach leczenia wyraźna odpowiedź molekularna wystąpiła u 38% (59 ze 157) pacjentów, którym podawano lek Scemblix, i u 16% (12 z 76) pacjentów, którym podawano bosutynib.

W innym badaniu uczestniczyło 405 osób dorosłych z nowo rozpoznaną CML Ph+ w fazie przewlekłej, które nie były wcześniej leczone. W badaniu pacjentom podawano albo lek Scemblix, albo inny inhibitor kinazy tyrozynowej. Po 48 tygodniach leczenia u około 68% (136 z 201) osób, którym podawano lek Scemblix, wystąpiła wyraźna odpowiedź molekularna, w porównaniu z około 49% (100 z 204) osób, którym podawano inny inhibitor kinazy tyrozynowej.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Scemblix

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Scemblix (mogące wystąpić częściej niż u 2 na 10 pacjentów) to: ból mięśni, kości i stawów, małopłytkowość (niskie miano płytek krwi), zmęczenie, zakażenia górnych dróg oddechowych (nosa i gardła), ból głowy, neutropenia (niskie miano neutrofili, rodzaju białych krwinek), ból stawu i biegunka.

Niektóre działania niepożądane leku Scemblix mogą być poważne. Najczęstsze z nich (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: wysięk opłucnowy (płyn w płucach), zakażenia dolnych dróg oddechowych (zakażenia płuc, takie jak zapalenie oskrzeli lub zapalenie płuc), małopłytkowość, zapalenie trzustki i gorączka.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Scemblix w UE

Wykazano, że lek Scemblix jest skuteczniejszy od innych inhibitorów kinazy tyrozynowej w zmniejszaniu liczby komórek z genem *BCR::ABL1* u dorosłych. Pod względem bezpieczeństwa działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Scemblix są podobne do działań obserwowanych w przypadku innych leków należących do tej klasy i uznaje się je za możliwe do opanowania. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Scemblix przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Scemblix

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

Inne informacje dotyczące leku Scemblix

Lek Scemblix otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 25 sierpnia 2022 r.

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

Data ostatniej aktualizacji: 11.2025.