



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/684022/2021
EMA/H/C/005467

Voraxaze (*glukarpidaza*)

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

Czym jest lek Voraxaze i w jakim celu się go stosuje

Voraxaze to lek stosowany w celu obniżenia stężenia metotreksatu (lek przeciwnowotworowy) we krwi osób dorosłych i dzieci w wieku powyżej 28 dni, których organizm nie jest w stanie usunąć metotreksatu wystarczająco szybko, lub zagrożonych toksycznym działaniem metotreksatu (gdy metotreksat jest szkodliwy dla normalnych komórek i narządów w organizmie).

Ze względu na to, że toksyczne działanie metotreksatu uznano za rzadko występujące, w dniu 3 lutego 2003 r. lek Voraxaze uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-02-128.

Substancją czynną zawartą w leku Voraxaze jest glukarpidaza.

Jak stosować lek Voraxaze

Lek wydawany na receptę. Lek należy stosować pod nadzorem lekarza. Lek podaje się w pojedynczym wstrzyknięciu dożylnym w ciągu 48–60 godzin od rozpoczęcia wlewu metotreksatu (kroplówki), w przypadku gdy u pacjenta występuje ryzyko toksyczności metotreksatu (na podstawie stężenia metotreksatu we krwi).

Lek Voraxaze stosuje się w skojarzeniu z innymi lekami w leczeniu toksyczności metotreksatu oraz w skojarzeniu ze środkami wspomagającymi, takimi jak podawanie płynów.

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

Jak działa lek Voraxaze

Metotreksat hamuje wzrost komórek, zakłócając wytwarzanie DNA. Dotyczy to szczególnie szybko rosnących komórek, takich jak komórki nowotworowe. Metotreksat może być jednak szkodliwy również dla innych normalnych komórek i narządów w organizmie. To szkodliwe działanie nazywa się toksycznością metotreksatu. Toksyczność metotreksatu jest stanem zagrażającym życiu.

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



Glukarpidaza, substancja czynna leku Voraxaze, jest białkiem, które może przekształcać metotreksat we krwi w substancję nieszkodliwą. W ten sposób zmniejsza się ilość metotreksatu we krwi i zmniejsza się ryzyko działań toksycznych. Ponieważ glukarpidaza nie przenika do komórek, nie hamuje ona przeciwnowotworowego działania leczniczego metotreksatu znajdującego się już w komórkach nowotworowych.

Korzyści ze stosowania leku Voraxaze wykazane w badaniach

W czterech badaniach z udziałem pacjentów zagrożonych działaniem toksycznym metotreksatu stwierdzono, że lek Voraxaze jest skuteczny w osiągnięciu istotnego klinicznie zmniejszenia stężenia metotreksatu we krwi (tzn. do poziomu, przy którym metotreksat nie powoduje już szkody). W badaniach obserwowano 169 pacjentów, u których stężenie metotreksatu mierzono metodą wysokosprawnej chromatografii cieczowej (HPLC) co najmniej raz po podaniu pierwszej dawki leku Voraxaze. Leku Voraxaze nie porównywano z innymi lekami.

W pierwszym badaniu uczestniczyli pacjenci, u których istniało ryzyko wystąpienia działań toksycznych metotreksatu z powodu zaburzenia czynności nerek lub którzy otrzymali zbyt duże dawki metotreksatu dokanałowo (we wstrzyknięciu do płynu otaczającego rdzeń kręgowy). Stosując lek Voraxaze, uzyskano istotne klinicznie zmniejszenie stężenia metotreksatu we krwi u 24 z 28 (85,7%) pacjentów.

W dwóch badaniach uczestniczyli pacjenci, których organizm nie był w stanie usunąć metotreksatu z powodu zaburzeń czynności nerek. W tych badaniach, stosując lek Voraxaze, uzyskano istotne klinicznie zmniejszenie stężenia metotreksatu we krwi u 14 z 27 (51,9%) i 20 z 30 (66,7%) pacjentów.

W ostatnim badaniu pacjentom, którzy nie byli w stanie usunąć metotreksatu z organizmu z powodu osłabionej czynności nerek, podawano lek Voraxaze w monoterapii lub w skojarzeniu z tymidyną (inny lek mający na celu obniżenie stężenia metotreksatu). Spośród tych pacjentów u 46 z 84 (54,8%) osób osiągnięto istotne klinicznie zmniejszenie stężenia metotreksatu we krwi. Wśród pacjentów otrzymujących lek Voraxaze i tymidynę, u 50% osiągnięto istotne klinicznie zmniejszenie stężenia metotreksatu w porównaniu z 59,5% pacjentów otrzymujących lek Voraxaze w monoterapii.

Ogółem w czterech badaniach średnie stężenie metotreksatu zmniejszyło się o 96,8%–99,3% w ciągu 15 minut od podania pierwszej dawki leku Voraxaze. Ponadto stężenie metotreksatu utrzymywało się na stabilnym poziomie przez 8–15 dni.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Voraxaze

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Voraxaze (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to uczucie pieczenia, ból głowy, parestezje (odczucia takie jak drętwienie, mrowienie, kłucie i mrowienie), zaczerwienienie i uczucie gorąca.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Voraxaze znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Voraxaze w UE

Toksyczność metotreksatu to poważna, zagrażająca życiu choroba, która występuje, gdy lek nie jest odpowiednio usuwany przez nerki i gromadzi się we krwi oraz w całym organizmie. U pacjentów zagrożonych toksycznością metotreksatu lek Voraxaze powoduje szybkie i znaczne zmniejszenie stężenia metotreksatu we krwi, które utrzymuje się na niskim poziomie przez okres do 15 dni po leczeniu. Chociaż dane dotyczące bezpieczeństwa stosowania leku Voraxaze są ograniczone, Europejska Agencja Leków uznała, że działania niepożądane po podaniu jednej dawki leku Voraxaze są dopuszczalne, biorąc pod uwagę, jak poważne są działania toksyczne metotreksatu. Dlatego też

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

Lek Voraxaze dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Voraxaze z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Voraxaze

W związku z tym, że lek Voraxaze został dopuszczony do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca lek Voraxaze do obrotu dostarczy dodatkowych danych dotyczących bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku Voraxaze u pacjentów, którzy nie są w stanie odpowiednio usunąć metotreksatu z organizmu.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Voraxaze

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Voraxaze 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 Voraxaze są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Voraxaze są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Voraxaze

Dalsze informacje na temat leku Voraxaze znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voraxaze.