



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/4229/2025
EMA/H/C/005636

Welireg (*belzutyfan*)

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

Czym jest lek Welireg i w jakim celu się go stosuje

Welireg to lek przeciwnowotworowy stosowany w leczeniu:

- osób dorosłych z zaawansowanym jasnokomórkowym rakiem nerkowokomórkowym (rodzajem raka nerek), który nasilił się pomimo dwóch lub więcej stosowanych wcześniej linii leczenia, w tym zawierających inhibitor PD-(L)1 i co najmniej dwie terapie ukierunkowane na śródbłonkowy czynnik wzrostu (ang. VEGF). Określenie „zaawansowany” oznacza, że rak zaczął się rozprzestrzeniać;
- osób dorosłych z chorobą von Hippel-Lindau (VHL), które wymagają leczenia z powodu związanego z tą chorobą, miejscowego (ograniczonego do jednego obszaru ciała) raka nerkowokomórkowego, naczynek krwionośnych zarodkowego ośrodkowego układu nerwowego (OUN) (rodzaj raka mózgu) lub nowotworów neuroendokrynnych trzustki (rodzaj raka trzustki) i u których nie można wykonać zabiegu chirurgicznego ani innego leczenia miejscowego. Choroba VHL jest chorobą genetyczną, która powoduje rozwijanie się nowotworów i torbieli w niektórych częściach ciała.

Substancją czynną zawartą w leku Welireg jest belzutyfan.

Jak stosować lek Welireg

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno być rozpoczynane i kontrolowane wyłącznie przez lekarza z doświadczeniem w leczeniu pacjentów chorych na raka.

Lek Welireg jest dostępny w postaci tabletek do przyjmowania doustnego raz na dobę. Leczenie kontynuuje się, dopóki pacjent czerpie z niego korzyści lub do czasu wystąpienia niedopuszczalnych działań niepożądanych.

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

Jak działa lek Welireg

Substancja czynna leku Welireg, belzutyfan, blokuje działanie białka zwanego czynnikiem transkrypcyjnego indukowanego niedotlenieniem 2 alfa (ang. HIF-2 α , *hypoxia-inducible factor 2*

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



alpha), które uczestniczy we wzroście komórek, tworzeniu nowych naczyń krwionośnych i wzroście nowotworu. Blokując działanie tego białka, belzutyfan może zapobiegać tworzeniu się nowych naczyń krwionośnych, odcinając dopływ krwi umożliwiającą wzrost komórek nowotworowych i ograniczając wzrost nowotworu.

Korzyści ze stosowania leku Welireg wykazane w badaniach

Zaawansowany jasnokomórkowy rak nerkowokomórkowy (ang. *renal cell carcinoma*, RCC)

W badaniu głównym wykazano, że lek Welireg jest co najmniej tak samo skuteczny jak inny zatwierdzony lek przeciwnowotworowy – ewerolimus – w leczeniu zaawansowanego jasnokomórkowego raka nerkowokomórkowego.

W badaniu stwierdzono, że wśród 369 pacjentów, u których choroba nasiliła się pomimo wcześniejszego leczenia, osoby przyjmujące lek Welireg żyły około 22 miesiące, natomiast osoby przyjmujące ewerolimus żyły około 18 miesięcy. Ponadto u osób przyjmujących lek Welireg czas przeżycia bez nasilenia się nowotworu wyniósł średnio 4,6 miesiąca, w porównaniu z 5,4 miesiąca w przypadku osób przyjmujących ewerolimus.

Nowotwory związane z chorobą von Hippel-Lindau (VHL)

W badaniu głównym wykazano, że lek Welireg jest skuteczny w leczeniu pacjentów z niektórymi rodzajami nowotworów związanych z chorobą VHL.

Głównym kryterium oceny skuteczności był odsetek pacjentów z rakiem nerkowokomórkowym, u których nie występowały oznaki nowotworu lub u których doszło do zmniejszenia się nowotworu po terapii lekiem Welireg. U 41 (67%) z 61 pacjentów z tym rakiem uzyskano tę odpowiedź na leczenie, która utrzymywała się przez co najmniej 18 miesięcy u 29 pacjentów. Odpowiedź obserwowano również u pacjentów z naczyniakami krwionośnymi zarodkowymi ośrodkowego układu nerwowego i nowotworami neuroendokrynnymi trzustki. W badaniu tym leku Welireg nie porównywano z żadnym innym leczeniem ani z placebo (leczeniem pozorowanym).

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Welireg

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Welireg (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: niedokrwistość (niski poziom czerwonych krwinek), zmęczenie, nudności (mdłości), duszność (trudności z oddychaniem), zawroty głowy i niedotlenienie (brak tlenu w tkankach organizmu). Niektóre działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Welireg mogą być ciężkie. Najczęstsze z nich to niedotlenienie, niedokrwistość i duszność i mogą wystąpić u 1 na 10 pacjentów.

Stosowanie leku Welireg w czasie ciąży może spowodować poronienie i poważne szkody dla rozwijającego się dziecka. W związku z tym Welireg nie może być stosowany przez kobiety ciężarne z nowotworami związanymi z chorobą VHL i może być stosowany wyłącznie przez kobiety ciężarne z zaawansowanym jasnokomórkowym rakiem nerkowokomórkowym, jeżeli lekarz uzna to za absolutnie konieczne. Pacjentki w wieku rozrodczym muszą wykonać test ciążowy przed rozpoczęciem terapii lekiem Welireg, aby potwierdzić, że nie są w ciąży. Kobiety powinny stosować skuteczną metodę antykoncepcji przed rozpoczęciem terapii lekiem Welireg i w jej trakcie oraz przez co najmniej 1 tydzień po zakończeniu leczenia. Lek Welireg może zmniejszyć skuteczność antykoncepcji hormonalnej. Dlatego też kobiety przyjmujące lek Welireg muszą również stosować niehormonalną metodę antykoncepcji, taką jak stosowanie prezerwatyw przez partnera.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Welireg w UE

Gdy lek został dopuszczony do obrotu, możliwości leczenia osób dorosłych z zaawansowanym jasno komórkowym rakiem nerkowo komórkowym, który nasilił się pomimo dwóch lub więcej stosowanych wcześniej linii leczenia, w tym zawierających inhibitor PD-(L)1 i co najmniej dwie terapie ukierunkowane na śródbłonkowy czynnik wzrostu, były ograniczone. W badaniu głównym wykazano, że lek Welireg jest co najmniej tak samo skuteczny jak lek porównawczy w wydłużaniu czasu przeżycia i opóźnianiu nasilenia się choroby u tych pacjentów.

W momencie dopuszczenia leku do obrotu nie istniało zatwierdzone leczenie dla osób dorosłych z chorobą VHL, które wymagały leczenia z powodu związanych z tą chorobą nowotworów. Pomimo że w badaniu głównym u tych pacjentów nie porównywano leku Welireg z innym leczeniem przeciwnowotworowym ani z placebo, a uczestniczyła w nim jedynie niewielka liczba pacjentów, wykazano, że lek Welireg był skuteczny w zmniejszaniu rozmiaru nowotworu lub eliminowaniu oznak nowotworu.

W odniesieniu do bezpieczeństwa działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Welireg w badaniach były możliwe do kontrolowania. W związku z tym Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Welireg przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Welireg uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu. Oznacza to, że lek został dopuszczony do obrotu na podstawie mniej wyczerpujących danych niż zwykle są wymagane, ponieważ spełnia niezaspokojoną potrzebę medyczną. Agencja uważa, że korzyści wynikające z wcześniejszego udostępnienia leku przewyższają wszelkie ryzyko związane ze stosowaniem leku w oczekiwaniu na dalsze dowody.

Firma musi dostarczyć dalsze dane dotyczące leku Welireg, w tym wyniki dwóch trwających badań w celu potwierdzenia skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku Welireg u osób dorosłych z niektórymi nowotworami związanymi z chorobą VHL. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które staną się dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Welireg

Firma, która wprowadza lek Welireg do obrotu, udostępni przewodnik dla personelu medycznego oraz kartę dla pacjentów zawierające informacje na temat ryzyka poważnego uszkodzenia rozwijającego się dziecka, środków ostrożności, jakie należy podjąć w celu uniknięcia ciąży w trakcie leczenia, oraz sposobu działania w przypadku zajścia w ciążę w trakcie leczenia.

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

Inne informacje dotyczące leku Welireg

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