



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/622089/2020
EMA/H/C/005031

Elzonris (*tagraxofusp*)

Um resumo sobre Elzonris e porque está autorizado na UE

O que é Elzonris e para que é utilizado?

Elzonris é um medicamento utilizado para o tratamento de adultos com neoplasia blástica das células dendríticas plasmocitoides (BPDCN), um tipo de cancro do sangue que pode afetar diversos órgãos, incluindo a pele, a medula óssea (tecido esponjoso existente no interior dos ossos grandes) e os gânglios linfáticos.

A BPDCN é uma doença rara, e Elzonris foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 11 de novembro de 2015. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567.

Elzonris contém a substância ativa tagraxofusp.

Como se utiliza Elzonris?

Elzonris está disponível para perfusão (administração gota a gota) numa veia e só pode ser obtido mediante receita médica. Deve ser administrado exclusivamente sob a supervisão de um médico com experiência no uso de medicamentos contra o cancro, num contexto em que esteja disponível equipamento de reanimação.

A dose recomendada é de 12 microgramas por quilograma de peso corporal, uma vez por dia, administrada por perfusão ao longo de 15 minutos. Elzonris é administrado nos primeiros 5 dias de um ciclo de 21 dias; os ciclos são repetidos a menos que a doença se agrave ou que os doentes apresentem efeitos secundários inaceitáveis.

O primeiro ciclo é administrado no hospital e os doentes devem ser monitorizados para efeitos secundários durante pelo menos 24 horas após a última perfusão. Os ciclos posteriores podem ser administrados num contexto de consultas externas equipado com monitorização intensiva de doentes em tratamento para cancros do sangue.

Cerca de uma hora antes de cada perfusão, devem ser administrados aos doentes medicamentos anti-histamínicos, um corticosteroide e paracetamol para reduzir o risco de reações do tipo alérgico.

Para mais informações sobre a utilização de Elzonris, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

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



Como funciona Elzonris?

A substância ativa de Elzonris, o tagraxofusp, é composta por toxina diftérica (uma substância que é tóxica para as células), ligada a uma proteína chamada *interleucina 3*. A porção do medicamento formada pela interleucina 3 liga-se a recetores (alvos) que se encontram em número elevado nas células de BPDCN. Uma vez ligado às células cancerosas, o medicamento é incorporado por elas, o que permite que a toxina seja libertada no seu interior, matando-as. Espera-se que isto evite o alastramento do cancro e reduza os sintomas da doença.

Quais os benefícios demonstrados por Elzonris durante os estudos?

Elzonris foi investigado num estudo envolvendo 84 adultos com BPDCN (65 não tratados anteriormente e 19 tratados anteriormente com outros medicamentos).

O estudo demonstrou que 57 % (37 em 65) dos doentes não tratados anteriormente não exibiram sinais da doença ou apresentaram lesões mínimas da pele após o tratamento com Elzonris. Adicionalmente, cerca de um terço (21 em 65) destes doentes puderem ser submetidos a um transplante de células estaminais (um procedimento no qual a medula óssea do doente é substituída por células estaminais de um dador para constituir uma nova medula óssea que produz células saudáveis), que contribuiu para prolongar a vida dos doentes.

Quais são os riscos associados a Elzonris?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Elzonris (que podem afetar mais de 1 em cada 5 pessoas) são hipoalbuminemia (níveis baixos de albumina no sangue), aumento dos níveis sanguíneos de transaminases (um sinal de problemas no fígado), trombocitopenia (níveis baixos de plaquetas sanguíneas), náuseas (sentir-se enjoado), cansaço e febre.

O efeito secundário mais grave que pode ocorrer durante o tratamento com Elzonris é a síndrome do derrame capilar (um efeito secundário imprevisível potencialmente fatal devido ao facto de os pequenos vasos sanguíneos começarem a deixar sair o sangue), que pode afetar até 1 em cada 5 pessoas.

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização de Elzonris, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Elzonris autorizado na UE?

Embora o estudo tenha sido pequeno e Elzonris não tenha sido comparado com outros tratamentos, a Agência Europeia de Medicamentos considerou que a condução de estudos de maiores dimensões para esta doença rara constitui um desafio. Depois de ter tido em conta conselhos adicionais de especialistas na área, a Agência concluiu que os benefícios de Elzonris são superiores aos seus riscos em doentes com BPDCN que ainda não foram submetidos a outros tratamentos, e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE. No entanto, os dados não foram suficientes para chegar à mesma conclusão em doentes cujos tratamentos anteriores não funcionaram. A segurança de Elzonris foi considerada aceitável na presença de medidas específicas para minimizar o risco dos efeitos secundários mais graves.

Elzonris foi autorizado em circunstâncias excepcionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Elzonris devido à raridade da doença. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre Elzonris?

Dado que Elzonris foi autorizado em circunstâncias excecionais, a empresa que comercializa Elzonris irá fornecer os resultados de um estudo baseado num registo de doentes com BPDCN, a fim de melhor caracterizar a eficácia e segurança de Elzonris.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Elzonris?

A empresa que comercializa Elzonris irá disponibilizar materiais formativos para os profissionais de saúde e um cartão de alerta para os doentes com informações importantes relativas à síndrome de derrame capilar.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Elzonris.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Elzonris são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Elzonris são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Elzonris

Mais informações sobre Elzonris podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 12-2020.