



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMADOC-1829012207-31561
EMA/H/C/005244

Koselugo (*selumetinib*)

Prezentare generală a Koselugo și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Koselugo și pentru ce se utilizează?

Koselugo este un medicament care se utilizează pentru tratarea neurofibroamelor plexiforme, tumori benigne (necanceroase) de-a lungul nervilor, când acestea cauzează simptome și nu pot fi operate, la adulți, adolescenți și copii cu vârsta peste 1 an cu neurofibromatoză de tip 1 (NF1).

NF1 este rară, iar Koselugo a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 31 iulie 2018. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi aici:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050

Koselugo conține substanța activă selumetinib.

Cum se utilizează Koselugo?

Koselugo se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat de un medic cu experiență în diagnosticul și tratamentul tumorilor cauzate de NF1.

Koselugo este disponibil sub formă de capsule pentru adulți, adolescenți și copii cu vârsta de 3 ani și peste. Este disponibil și sub formă de granule într-o capsulă care poate fi deschisă, destinată copiilor cu vârsta între 1 an și sub 7 ani, precum și pacienților mai în vârstă care au dificultăți la înghițire.

Medicamentul se ia de două ori pe zi, la interval de aproximativ 12 ore. Koselugo capsule nu trebuie administrat pacienților care nu pot înghiți capsula întreagă.

Înainte și în timpul tratamentului cu Koselugo, medicul va controla cât de bine funcționează inima, ochii și ficatul pacientului. Tratamentul trebuie continuat atât timp cât starea de sănătate a pacientului se ameliorează sau rămâne stabilă și reacțiile adverse sunt tolerabile. Dacă apar anumite reacții adverse, medicul poate să reducă doza sau să oprească temporar sau permanent tratamentul.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Koselugo, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Koselugo?

Substanța activă din Koselugo, selumetinibul, blochează enzimele (proteinele) numite MEK1 și MEK2, care sunt implicate în stimularea creșterii celulelor. În NF1, MEK1 și MEK2 sunt hiperactive, ceea ce

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



face ca celulele tumorale să crească necontrolat. Blocând aceste enzime, selumetinibul ajută la încetinirea creșterii celulelor tumorale.

Ce beneficii a prezentat Koselugo pe parcursul studiilor?

Două studii principale au constatat că, prin reducerea mărimii acestor tumori, Koselugo este eficace în tratarea neurofibroamelor plexiforme la adulți, adolescenți și copii cu NF1. Principala măsură al eficacității în ambele studii a fost procentul de pacienți care au răspuns la tratamentul cu Koselugo. S-a considerat că pacienții au răspuns la tratament când nu mai aveau semne de tumori (răspuns complet) sau când tumorile s-au micșorat cu cel puțin 20 % (răspuns parțial), iar răspunsul a fost confirmat în decurs de 3-6 luni.

În primul studiu, tumora s-a micșorat cu cel puțin 20 % la 33 de copii din 50 (66 %) cu vârsta de 3 ani și peste, cu NF1 și neurofibroame plexiforme care nu puteau fi operate. În acest studiu, Koselugo nu a fost comparat cu alt medicament sau cu placebo (un preparat inactiv).

În al doilea studiu, care a cuprins 145 de adulți cu NF1 și neurofibroame plexiforme, tumora s-a micșorat cu cel puțin 20 % la 14 persoane din 71 (aproximativ 20 %) care au primit Koselugo, față de 4 persoane din 74 (aproximativ 5 %) cărora li s-a administrat placebo.

De asemenea, compania a furnizat date care arată că, atunci când este administrată sub formă de granule, substanța activă din Koselugo, selumetinibul, se comportă în organism într-un mod comparabil cu cel observat atunci când este administrată sub formă de capsule.

Datele dintr-un studiu în curs au arătat, de asemenea, că, la copiii cu vârsta între 1 an și sub 3 ani, Koselugo se comportă în organism în același mod ca la copiii cu vârsta de 3 ani și peste.

Care sunt riscurile asociate cu Koselugo?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Koselugo, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Koselugo la copii și adolescenți (care pot afecta mai mult de 4 persoane din 10) sunt vărsături, erupții pe piele, valori mari ale creatinfosfokinazei în sânge (enzimă eliberată în sânge când este afectat mușchiul), diaree, greață, stomatită (inflamație a mucoasei gurii), evenimente astenice (senzație de slăbiciune), piele uscată, febră, dermatită acneiformă (erupție pe piele asemănătoare acneei), hipoalbuminemie (niveluri scăzute de albumină, o proteină din sânge), valori mari ale aspartat aminotransferazei (enzimă care indică un posibil semn de probleme la ficat), valori scăzute ale hemoglobinei (proteina din globulele roșii care transportă oxigenul în organism) și paronichie (infecție a patului unghial).

Unele reacții adverse asociate cu Koselugo la copii și adolescenți pot fi grave. Cele mai frecvente (care pot afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt diaree, anemie (număr mic de globule roșii), febră, valori mari ale creatinfosfokinazei în sânge, valori mari ale creatininei în sânge (semn de probleme la rinichi), edem periferic (umflarea în special a gleznelor și picioarelor) și vărsături.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Koselugo la adulți (care pot afecta mai mult de 2 persoane din 10) sunt erupții pe piele acneiforme (erupții pe piele asemănătoare acneei), valori mari ale creatinfosfokinazei în sânge, diaree, erupții pe piele și vărsături.

Koselugo este contraindicat la pacienții cu boală hepatică severă.

De ce a fost autorizat Koselugo în UE?

Neurofibroamele plexiforme pot cauza desfigurare, dificultăți de mișcare, durere și probleme la nivelul nervilor. S-a demonstrat că Koselugo reduce mărimea tumorii la adulți, adolescenți și copii cu vârsta de 3 ani și peste, cu neurofibroame plexiforme asociate cu NF1 care nu pot fi operate. Deoarece boala afectează în același mod atât copiii mai mici cât și copiii mai mari, iar Koselugo acționează în același mod la toate grupele de vârstă, se preconizează că medicamentul va fi eficient și la copiii cu vârsta între 1 an și sub 3 ani. Ca măsură de precauție, doza trebuie mărită treptat la acești copii mai mici. În ceea ce privește siguranța, reacțiile adverse la Koselugo sunt considerate gestionabile terapeutic.

Koselugo a primit „autorizare condiționată”. Acest lucru înseamnă că medicamentul a fost autorizat pe baza unor date mai puțin cuprinzătoare decât cele solicitate în mod normal, pentru că îndeplinește o necesitate medicală nesatisfăcută. Agenția consideră că beneficiile disponibilității timpurii a medicamentului sunt mai mari decât riscurile asociate cu utilizarea lui în așteptarea de dovezi suplimentare.

Compania trebuie să furnizeze date suplimentare cu privire la Koselugo. Trebuie să prezinte rezultatele unui studiu în curs pentru a confirma siguranța Koselugo pe termen lung la copii cu NF1, cu vârsta de 3 ani și peste. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficientă a Koselugo?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficientă a Koselugo, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Koselugo sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Koselugo sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Koselugo

Koselugo a primit autorizație de punere pe piață condiționată, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 17 iunie 2021.

Mai multe informații despre Koselugo se pot găsi pe site-ul agenției:

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

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 12-2025.