



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/612711/2022
EMA/H/C/004275

Crysvita (*burosumab*)

Prehľad o lieku Crysvita a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Crysvita a na čo sa používa?

Liek Crysvita sa používa na liečbu X-viazanej hypofosfatémie, dedičnej poruchy vyznačujúcej sa nízkymi hladinami fosfátu v krvi (hypofosfatémie). Keďže fosfát je dôležitý pri stavbe kostí a zubov a na udržanie ich pevnosti, u pacientov sa môže vyvinúť krivica a iné deformity kostí a problémy s rastom. Liek Crysvita sa môže používať na liečbu detí a dospelých vo veku od 1 do 17 rokov, keď sú príznaky ochorenia kostí pozorované na röntgenových snímkach, a u dospelých.

Liek Crysvita sa používa aj na liečbu osteomalácie (zmäkčovania a oslabovania kostí) zapríčinennej fosfaturickými mezenchymálnymi nádormi. Tento typ nádoru tvorí hormóny, najmä látku nazývanú rastový faktor fibroblastov 23 (FGF23), ktorý spôsobuje, že telo prichádza o fosfát. Liek Crysvita sa používa u pacientov vo veku od jedného roka, keď sa nádor nedá lokalizovať alebo odstrániť chirurgickým zákrokom.

Liek Crysvita obsahuje liečivo burosumab.

Tieto ochorenia sú zriedkavé, a preto bol liek Crysvita označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia možno nájsť na webovej stránke Európskej agentúry pre lieky ([X-viazaná hypofosfatémia](#): 15. októbra 2014; [fosfaturický mezenchymálny nádor](#): 16. apríla 2018).

Ako sa liek Crysvita používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s ochoreniami kostí spôsobenými zmenami v chemických procesoch v tele.

Liek Crysvita sa podáva formou injekcie pod kožu každé dva alebo štyri týždne v závislosti od veku pacienta. Odporúčaná začiatková dávka závisí od liečeného ochorenia a od veku a telesnej hmotnosti pacienta. Dávka sa upraví aj podľa hladiny fosfátu v krvi pacienta.

Viac informácií o používaní lieku Crysvita si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

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



© European Medicines Agency, 2022. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Akým spôsobom liek Crysvida účinkuje?

Hladinu fosfátu riadia prevažne obličky, ktoré podľa potreby buď odstránia nadbytočný fosfát alebo ho vrátia do krvného obehu. Pacienti s X-viazanou hypofosfatémiou alebo osteomaláciou spôsobenou nádorom majú abnormálne vysokú hladinu FGF23, čo spôsobuje, že obličky prestanú vracat fosfát do krvi.

Liek Crysvida je monoklonálna protilátka (druh proteínu) vytvorená tak, aby rozpoznala proteín FGF23 a naviazala sa naň. Ak sa liek naviaže na proteín FGF23, zablokuje jeho pôsobenie, čím sa umožní, aby sa fosfát opätovne vstrebal z obličiek do krvi a obnovila sa normálna hladina fosfátu v krvi.

Aké prínosy lieku Crysvida boli preukázané v štúdiách?

X-viazaná hypofosfatémia

Z RTG snímok vidieť, že liek Crysvida zmiernil závažnosť krivice (deformít kostí) u pacientov s X-viazanou hypofosfatémiou.

Liek sa hodnotil v jednej hlavnej štúdii na 52 deťoch vo veku od 5 do 12 rokov. Všetky deti dostávali liek Crysvida buď každé dva alebo každé štyri týždne. Hlavným meradlom účinnosti bolo zmiernenie závažnosti krivice v zápästí a kolene na stupnici od 0 (normálny stav) do 10 (ťažký stav). Priemerné skóre pred liečbou (východiskové skóre) bolo 1,9 bodu u detí, ktorým sa liek Crysvida podával každé dva týždne, pričom po 64 týždňoch liečby kleslo o 1,0 bodu, zatiaľ čo pacientom, ktorým sa liek podával každé štyri týždne, kleslo začiatkové skóre 1,7 bodu o 0,8 bodu. Okrem toho sa hladina fosfátu v krvi v priebehu času zlepšila v oboch skupinách, najmä u pacientov, ktorým sa liek Crysvida podával každé dva týždne. V štúdii skúmajúcej 13 mladších detí sa preukázalo, že liek Crysvida je účinný u pacientov vo veku od jedného do štyroch rokov.

V ďalšej štúdii sa skúmalo použitie lieku Crysvida u 134 dospelých. Pacientom sa podával liek Crysvida alebo placebo (zdanlivý liek) každé štyri týždne počas 24 týždňov a hlavným meradlom účinnosti bola normalizácia hladiny fosfátu v krvi. V štúdii sa preukázalo, že hladina fosfátu v krvi sa vrátila na normálne hodnoty u 94 % pacientov, ktorým sa podával liek Crysvida, v porovnaní s 8 % pacientov, ktorým sa podávalo placebo.

Osteomalácia vyvolaná nádorom

Preukázalo sa, že liek Crysvida zvyšuje hladinu fosfátu v krvi a zlepšuje zdravie kostí u dospelých s osteomaláciou vyvolanou nádorom, kde sa nádor nemohol lokalizovať alebo chirurgicky odstrániť.

V prvej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 14 dospelých s osteomaláciou vyvolanou nádorom, sa po približne 6 mesiacoch liečby u 7 pacientov dosiahla normálna hladina fosfátu v krvi. Okrem toho sa asi po roku liečby pozorovalo zlepšenie zdravia kostí.

V druhej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 13 dospelých s osteomaláciou vyvolanou nádorom, sa hladina fosfátu v krvi zvýšila na normálnu úroveň a počas štúdie zostala stabilná (až do 2,7 roka).

Na základe údajov dostupných u pacientov mladších ako 18 rokov s X-viazanou hypofosfatémiou a skutočnosti, že obidve ochorenia sú spôsobené vysokou hladinou FGF23, sa očakáva, že liek Crysvida bude účinný aj u detí a dospievajúcich s osteomaláciou vyvolanou nádorom.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Crysvida?

U detí sú najčastejšie vedľajšie účinky lieku Crysvida (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) reakcie v mieste podania injekcie (napríklad začervenanie kože, svrbenie, vyrážka, bolesť a modrina),

kašeľ, bolesť hlavy, horúčka, bolesť v ramenách a nohách, vracanie, zubný absces, znížená hladina vitamínu D, hnačka, vyrážka, nevoľnosť, zápcha, zubný kaz a bolesť svalov.

Najčastejšie vedľajšie účinky u dospelých (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú bolesť chrbta, reakcie v mieste podania injekcie, bolesť hlavy, infekcia zubov, syndróm nepokojných nôh, svalové kŕče, zápcha, znížená hladina vitamínu D a závraty.

Počas liečby liekom Crysvida sa nesmie používať ústne podávaný fosfát a aktívne formy vitamínu D (napríklad kalcitriol). Liek Crysvida sa nesmie používať ani u pacientov s vysokou hladinou fosfátu v krvi ani u pacientov so závažným ochorením obličiek.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Crysvida a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Crysvida povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Crysvida zmierňuje závažnosť deformácií kostí v zápästí a kolene a zlepšuje reguláciu hladiny fosfátu v krvi u detí s X-viazanou hypofosfatémiou. Liek bol tiež účinný pri zvýšení hladiny fosfátu v krvi u dospelých. Ďalej sa preukázalo, že liek Crysvida má priaznivý účinok na výšku hladiny fosfátu a zdravie kostí u pacientov s osteomaláciou vyvolanou nádorom. Vedľajšie účinky lieku sa považujú za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Crysvida sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Crysvida?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Crysvida boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Crysvida sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Crysvida sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Crysvida

Lieku Crysvida bolo dňa 19. februára 2018 udelené povolenie na uvedenie na trh s podmienkou platné v celej EÚ. Dňa 21. septembra 2022 bolo toto povolenie zmenené na úplné.

Ďalšie informácie o lieku Crysvida sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/crysvida

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 09-2022