



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMADOC-1829012207-33715
EMA/H/C/005605

Scemblix (*asciminib*)

Prehľad o lieku Scemblix v zrozumiteľnom jazyku a prečo bol liek v EÚ povolený

Čo je liek Scemblix a na čo sa používa?

Scemblix je liek proti rakovine. Používa sa na liečbu chronickej myeloidnej leukémie (CML), rakoviny bielych krviniek, v tzv. chronickej fáze (to znamená, že rakovina sa vyvíja pomaly a pacient má málo príznakov alebo nemá žiadne príznaky).

Používa sa u dospelých, ktorých rakovina je pozitívna na chromozóm Philadelphia (Ph+). Ph+ znamená, že dva chromozómy pacienta sa preskupili a vytvorili špeciálny chromozóm nazývaný chromozóm Philadelphia. Tento chromozóm vytvára enzým (proteín) známy ako BCR::ABL1 tyrozínkináza, čo vedie k vzniku leukémie.

Liek Scemblix je určený aj na použitie u dospelých s Ph+ CML v chronickej fáze, ktorých rakovinové bunky majú mutáciu (zmenu) nazývanú *T315I* v géne, ktorý vytvára BCR::ABL1 proteín, a pre ktorých liečba nie je prínosom alebo nemôžu dostávať liečbu iným protirakovinovým liekom nazývaným ponatinib.

CML je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Scemblix 24. marca 2020 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú tu: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2261>

Liek Scemblix obsahuje liečivo asciminib.

Ako sa liek Scemblix používa?

Výdaj lieku Scemblix je viazaný na lekársky predpis a liečbu musí začať lekár, ktorý má skúsenosti s diagnostikou a liečbou leukémie.

Liek je dostupný vo forme tabliet, ktoré sa užívajú ústami každý deň. Ak sa vyskytnú určité vedľajšie účinky, lekár môže liečbu prerušiť alebo znížiť dávku. Liečba sa môže zastaviť, ak pacient netoleruje liečbu so zníženou dávkou.

Viac informácií o používaní lieku Scemblix 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



Akým spôsobom liek Scemblix účinkuje?

Liečivo lieku Scemblix, asciminib, je inhibítor tyrozínkinázy, čo znamená, že blokuje enzýmy známe ako tyrozínkinázy. Pri Ph+ CML telo produkuje veľké množstvo abnormálnych bielych krviniek. Liek Scemblix konkrétne blokuje aktivitu BCR::ABL1 tyrozínkinázy tvorenej týmito bunkami a zastavuje ich delenie a rast.

Aké prínosy lieku Scemblix boli preukázané v štúdiách?

Prínosy lieku Scemblix sa hodnotili v štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 233 dospelých s Ph+ CML v chronickej fáze, ktorí boli v minulosti liečení dvoma alebo viacerými inhibítormi tyrozínkinázy. V tejto štúdii bol liek Scemblix účinnejší ako bosutinib (iný inhibítor tyrozínkinázy); po 24 týždňoch liečby dosiahol veľkú molekulovú odpoveď (čo znamená, že počet buniek s génom *BCR::ABL1* klesol na 1 000-násobok pod štandardnú východiskovú hodnotu) 25 % (40 zo 157) pacientov, ktorým sa podával liek Scemblix, v porovnaní s 13 % (10 zo 76) pacientov, ktorým sa podával bosutinib. Po 96 týždňoch liečby dosiahol veľkú molekulovú odpoveď 38 % (59 zo 157) pacientov, ktorým sa podával liek Scemblix, a 16 % (12 zo 76) pacientov, ktorým sa podával bosutinib.

Na ďalšej štúdii sa zúčastnilo 405 dospelých s novo diagnostikovanou Ph+ CML v chronickej fáze, ktorí neboli v minulosti liečení. V štúdii sa pacientom podával buď liek Scemblix alebo iný inhibítor tyrozínkinázy. Po 48 týždňoch liečby dosiahol veľkú molekulovú odpoveď približne 68 % (136 z 201) pacientov, ktorým bol podávaný liek Scemblix, v porovnaní s približne 49 % (100 z 204) pacientov, ktorým bol podávaný iný inhibítor tyrozínkinázy.

Na tretej štúdii sa zúčastnilo 48 dospelých s Ph+ CML v chronickej fáze, ktorých karcinóm mal mutáciu *T315I* a ktorí predtým podstúpili liečbu inhibítormi tyrozínkinázy. Z týchto pacientov 45 nemalo veľkú molekulovú odpoveď na začiatku štúdie, z ktorých 26 bolo predtým liečených ponatinibom. Po 24 týždňoch liečby liekom Scemblix dosiahol veľkú molekulovú odpoveď približne 31 % (8 z 26) týchto pacientov. Po 96 týždňoch liečby bol tento údaj približne 35 % (9 z 26). V tejto štúdii sa liek Scemblix používal v 5-krát vyššej dávke ako u osôb bez mutácie *T315I* a neporovnával sa so žiadnou inou liečbou.

Štúdie uskutočnené s liekom Scemblix sú podrobnejšie opísané v hodnotiacich správach o lieku.

Aké sú vedľajšie účinky a obmedzenia ri používání lieku Scemblix?

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

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Scemblix (ktoré môžu postihnúť viac ako 2 z 10 osôb) sú muskuloskeletálna bolesť (bolesť svalov, kĺbov a kostí), trombocytopénia (nízka hladina krvných doštičiek), únava, infekcie horných dýchacích ciest (nosa a hrdla), bolesť hlavy, neutropénia (nízka hladina neutrofilov, druhu bielych krviniek), artralgia (bolesť kĺbov) a hnačka.

Ďalšie časté vedľajšie účinky lieku Scemblix pri jeho používaní u osôb s mutáciou *T315I* sú zvýšené hladiny pankreatických a pečeneých enzýmov (čo môže naznačovať abnormálnu funkciu pankreasu alebo pečene), nauzea (pocit nevoľnosti), vracanie a kašeľ.

Niektoré vedľajšie účinky lieku Scemblix môžu byť závažné. Najčastejšie (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú pleurálny výpotok (tekutina okolo pľúc), infekcie dolných dýchacích ciest (infekcie pľúc, ako je bronchitída alebo pneumónia), trombocytopénia, pankreatitída (zápal pankreasu) a horúčka.

U osôb s mutáciou *T315I* najčastejšie závažné vedľajšie účinky (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú abdominálna bolesť (bolesť brucha) , vracanie, infekcie dolných dýchacích ciest, zápcha, bolesť hlavy, nesrdcová (nesúvisiaca so srdcom) bolesť v hrudníku a pleurálna efúzia.

Prečo bol liek Scemblix povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Scemblix je pri znižovaní počtu buniek s génom *BCR::ABL1* u dospelých s Ph+ CML v chronickej fáze účinnejší ako iné inhibítory tyrozínkinázy. Takisto sa zistilo, že liek je účinný pri vyššej dávke u osôb s Ph+ CML v chronickej fáze, ktorých rakovinové bunky majú mutáciu nazývanú *T315I*. Štúdia, na ktorej sa zúčastnili osoby s mutáciou *T315I*, však zahŕňala len malý počet pacientov a liek Scemblix sa v nej neporovnával s ponatinibom, ktorý bol v čase štúdie schválenou liečbou pre pacientov s touto mutáciou. Preto nebolo možné vyvodiť záver o účinnosti lieku Scemblix u pacientov s mutáciou *T315I*, ktorí v minulosti neboli liečení ponatinibom.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, vedľajšie účinky lieku Scemblix u osôb bez mutácie *T315I* sú podobné ako vedľajšie účinky pozorované v prípade iných liekov tejto triedy liekov a považujú sa za kontrolovateľné. V prípade pacientov s touto mutáciou, ktorí potrebujú oveľa vyššiu dávku lieku Scemblix ako pacienti bez tejto mutácie, sú k dispozícii obmedzené údaje o bezpečnosti. Neistoty týkajúce sa potenciálneho zvýšeného rizika vedľajších účinkov pri tejto vyššej dávke sú však opísané v informáciách o lieku spolu s odporúčaním pre zdravotníckych pracovníkov, aby zvážili dôkladné sledovanie týchto pacientov.

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Scemblix 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 Scemblix?

Spoločnosť, ktorá liek Scemblix uvádza na trh, uskutoční štúdiu na vyhodnotenie dlhodobej účinnosti a bezpečnosti lieku Scemblix u pacientov s novodiagnostikovanou CML s pozitívnym chromozómom Philadelphia (Ph+) v chronickej fáze.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Scemblix 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 Scemblix sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Scemblix sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Scemblix

Liek Scemblix bolo 25. augusta 2022 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Scemblix vrátane písomnej informácie pre používateľa a hodnotiacej správy sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/scemblix.

Ak potrebujete informácie o dostupnosti tohto lieku vo vašej krajine, obráťte sa na svoj [príslušný vnútroštátny orgán](#).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 04-2026