



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/684022/2021
EMA/H/C/005467

Voraxaze (*glukarpidáza*)

Prehľad o lieku Voraxaze a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Voraxaze a na čo sa používa?

Liek Voraxaze sa používa na zníženie hladiny metotrexátu (protirakovinového lieku) v krvi dospelých a detí starších ako 28 dní, ktorých telo nie je schopné dostatočne rýchlo odstrániť metotrexát, alebo ktorí sú vystavení riziku toxicity metotrexátu (ak je metotrexát škodlivý pre normálne bunky a orgány v tele).

Toxicita metotrexátu je zriedkavá, a preto bol liek Voraxaze 3. februára 2003 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-02-128.

Liek Voraxaze obsahuje liečivo glukarpidáza.

Ako sa liek Voraxaze používa?

Výdaj lieku Voraxaze je viazaný na lekársky predpis a liek sa má používať pod dohľadom zdravotníckeho pracovníka. Podáva sa ako jedna injekcia do žily do 48 až 60 hodín od začatia infúzie metotrexátu (kvapkaním), keď je u pacienta riziko toxicity metotrexátu (na základe hladiny metotrexátu v krvi).

Liek Voraxaze sa používa spolu s inými liekmi na liečbu toxicity metotrexátu a na podporné opatrenia, ako je podávanie tekutín.

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

Akým spôsobom liek Voraxaze účinkuje?

Metotrexát zastavuje rast buniek tak, že narúša produkciu DNA. Ovplyvňuje to najmä rýchlo rastúce bunky, ako sú rakovinové bunky. Metotrexát však môže byť škodlivý aj pre iné normálne bunky a orgány v tele. Tento škodlivý účinok sa nazýva toxicita metotrexátu. Toxicita metotrexátu je život ohrozujúci stav.

Liečivo lieku Voraxaze, glukarpidáza, je proteín, ktorý môže premeniť metotrexát v krvi na neškodnú látku. Množstvo metotrexátu v krvi sa teda zníži a riziko toxicity sa zmierni. Keďže glukarpidáza

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



nevstupuje do buniek, nezastavuje liečbu rakoviny pomocou metotrexátu, ktorý je už v rakovinových bunkách.

Aké prínosy lieku Voraxaze boli preukázané v štúdiách?

V štyroch štúdiách s pacientmi s rizikom toxicity metotrexátu sa zistilo, že liek Voraxaze je účinný pri dosiahnutí klinicky významného zníženia (CIR) hladiny metotrexátu v krvi (inými slovami na úroveň, pri ktorej metotrexát už nespôsobuje poškodenie). V týchto štúdiách sa skúmalo 169 pacientov, u ktorých sa merala hladina metotrexátu pomocou metódy, ktorá sa nazýva vysokovýkonná kvapalinová chromatografia (HPLC), a to aspoň raz po prvej dávke lieku Voraxaze. Liek Voraxaze sa neporovnával s inými liekmi.

Na prvej štúdií sa zúčastnili pacienti, u ktorých existovalo riziko toxicity metotrexátu z dôvodu zníženej funkcie obličiek alebo preto, že dostali príliš veľa metotrexátu intratekálne (injekciou do tekutiny obklopujúcej miechu). Liečba liekom Voraxaze dosiahla CIR v hladine metotrexátu v krvi u 24 z 28 (85,7 %) pacientov.

Na dvoch štúdiách sa zúčastnili pacienti, ktorí neboli schopní vylúčiť metotrexát z tela z dôvodu zníženej funkcie obličiek. V týchto štúdiách sa liečbou liekom Voraxaze dosiahlo CIR v hladine metotrexátu v krvi u 14 z 27 (51,9 %) pacientov a 20 z 30 (66,7 %) pacientov.

V poslednej štúdií sa pacientom, ktorí neboli schopní vylúčiť metotrexát z tela z dôvodu zníženej funkcie obličiek, podával liek Voraxaze samostatne alebo s tymidínom (iným liekom na zníženie hladiny metotrexátu). Z týchto pacientov dosiahlo CIR v hladine hladinách metotrexátu v krvi 46 z 84 pacientov (54,8 %). Z pacientov, ktorí dostávali liek Voraxaze a tymidín, 50 % dosiahlo CIR v prípade metotrexátu v porovnaní s 59,5 % pacientov, ktorí dostávali samotný liek Voraxaze.

Celkovo sa v rámci týchto štyroch štúdií priemerná hladina metotrexátu do 15 minút po prvej dávke lieku Voraxaze znížila o 96,8 % až 99,3 %. Okrem toho, hladina metotrexátu zostala stabilná 8 až 15 dní.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Voraxaze?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Voraxaze (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú pocit pálenia, bolesť hlavy, parestézia (pocity, ako je necitlivosť, mravčenie, brnenie a mravčenie), návaly tepla a pocit horúčavy.

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

Prečo bol liek Voraxaze povolený v EÚ?

Toxicita metotrexátu je závažné, život ohrozujúce ochorenie, ku ktorému dochádza, keď sa liek dostatočne nevylúči obličkami a hromadí sa v krvi a v celom tele. U pacientov s rizikom toxicity metotrexátu liek Voraxaze spôsobuje rýchly a veľký pokles hladiny metotrexátu v krvi, ktorý ostáva nízky až 15 dní po liečbe. Aj keď sú k dispozícii obmedzené údaje o bezpečnosti lieku Voraxaze, Európska agentúra pre lieky usúdila, že vedľajšie účinky po jednej dávke lieku Voraxaze sú prijateľné vzhľadom na závažnosť toxicity metotrexátu. Agentúra preto usúdila, že prínosy lieku Voraxaze sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Voraxaze bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Voraxaze. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Voraxaze dosiaľ neboli predložené?

Keďže liek Voraxaze bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek Voraxaze uvádza na trh, predloží ďalšie údaje o bezpečnosti a účinnosti lieku Voraxaze u pacientov, ktorí nie sú schopní dostatočne vylúčiť metotrexát z tela.

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

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

Ďalšie informácie o lieku Voraxaze

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