



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/543934/2024
EMA/H/C/002464

Jakavi (*ruksolitinib*)

Pregled zdravila Jakavi in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Jakavi in za kaj se uporablja?

Jakavi je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje naslednjih bolezni:

- splenomegalije (povečane vranice) ali drugih simptomov, povezanih z boleznijo, kot so povišana telesna temperatura, nočno potenje, bolečine v kosteh in izguba telesne mase pri odraslih, ki imajo mielofibrozo. Mielofibroza je bolezen, pri kateri se kostni mozeg močno zgosti, otrdi in proizvaja nenormalne, nezrele krvne celice;
- prave policitemije pri odraslih, pri katerih zdravljenje s hidrosikarbamidom (znanim tudi kot hidrosisečnina) ni učinkovito ali ki jim ta učinkovina povzroča nesprejemljive neželene učinke. Pri pravi policitemiji nastaja preveč rdečih krvnih celic, zaradi česar se kri zgošča, kar lahko povzroči zmanjšan pretok krvi do organov. Občasno lahko pride tudi do krvnih strdkov;
- akutne bolezni presadka proti gostitelju (pri kateri celice darovalca napadejo telo prejemnika presadka kmalu po presaditvi) pri odraslih in otrocih, starih 28 dni ali več, pri katerih kortikosteroidi ali druga sistemska zdravila (ki se dajejo peroralno ali z injiciranjem) niso bila dovolj uspešna;
- kronične bolezni presadka proti gostitelju (ki se običajno razvije pozneje kot akutna bolezen presadka proti gostitelju, tj. v nekaj tednih do mesecih po presaditvi) pri odraslih in otrocih, starejših od šest mesecev, pri katerih kortikosteroidi ali druga sistemska zdravila niso bili dovolj uspešna.

Zdravilo Jakavi vsebuje učinkovino ruksolitinib.

Kako se zdravilo Jakavi uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Jakavi je le na recept, zdravljenje z njim pa lahko uvede le zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z zdravili za zdravljenje raka.

Zdravilo Jakavi je na voljo v obliki tablet in raztopine za peroralno uporabo, ki se jemljeta dvakrat na dan. Priporočeni odmerek je odvisen od bolezni, za katero se uporablja.

Če se pojavijo določeni neželeni učinki, je treba odmerek zmanjšati ali zdravljenje prekiniti.

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



Za več informacij glede uporabe zdravila Jakavi glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Jakavi deluje?

Učinkovina v zdravilu Jakavi, ruksolitinib, zavira skupino encimov, imenovanih Janusove kinaze, ki sodelujejo pri tvorbi in rasti krvnih celic. Pri mielofibrozi in pravi policitemiji so encimi Janusove kinaze preveč dejavni, kar vodi do nenormalne tvorbe krvnih celic. Te krvne celice lahko prispejo do organov, vključno z vranico, ki se zaradi tega povečajo. Encimi Janusove kinaze sodelujejo tudi pri razvoju in aktivaciji celic imunskega sistema (naravnega obrambnega mehanizma telesa), ki igrajo pomembno vlogo pri bolezni presadka proti gostitelju. Ruksolitinib z zaviranjem encimov Janusove kinaze pomaga zmanjšati vnetje, s čimer se zmanjšajo simptomi akutne in kronične bolezni presadka proti gostitelju.

Kakšne koristi zdravila Jakavi so se pokazale v študijah?

Mielofibroza

Zdravilo Jakavi je bilo učinkovitejše od placeba (zdravila brez učinkovine) in najboljšega razpoložljivega zdravljenja za zmanjšanje velikosti vranice v dveh glavnih študijah, v katerih je sodelovalo 528 odraslih bolnikov. V prvi študiji je bil cilj 35-odstotnega zmanjšanja velikosti vranice dosežen pri 42 % (65 od 155) bolnikov, zdravljenih z zdravilom Jakavi, v primerjavi z manj kot 1 % (1 od 153) bolnikov, ki so prejeli placebo. V drugi študiji je bil cilj 35-odstotnega zmanjšanja velikosti vranice dosežen pri 29 % (41 od 144) bolnikov, zdravljenih z zdravilom Jakavi, v primerjavi z nobenim od 72 bolnikov, ki so prejeli najboljšo razpoložljivo obliko zdravljenja, kot so zdravila za zdravljenje raka, hormoni in imunosupresivna zdravila.

Prava policitemija

V glavni študiji, v katero je bilo vključenih 222 odraslih bolnikov, pri katerih hidroksikarbamid ni bil učinkovit ali je povzročil nesprejemljive neželene učinke, je bilo dokazano, da zdravilo Jakavi izboljša bolnikovo zdravstveno stanje. Izboljšanje so merili kot potrebo po manj kot enem zdravljenju s flebotomijo (postopkom odstranjevanja odvečne krvi iz telesa) in zmanjšanje velikosti vranice za vsaj 35 %. V tej študiji je bilo pri 21 % (23 od 110) bolnikov, zdravljenih z zdravilom Jakavi, po osmih mesecih zdravljenja opaziti izboljšanje, v primerjavi z 1 % (1 od 112) bolnikov, ki so prejeli najboljšo razpoložljivo obliko zdravljenja.

Bolezen presadka proti gostitelju

Zdravilo Jakavi je bilo učinkovito pri zmanjševanju simptomov akutne in kronične bolezni presadka proti gostitelju pri odraslih in mladostnikih, starejših od 12 let, v dveh glavnih študijah.

V prvo študijo je bilo vključenih 309 odraslih in mladostnikov, starejših od 12 let, z akutno boleznijo presadka proti gostitelju zaradi alogenske presaditve matičnih celic (z uporabo matičnih celic darovalca). Zdravljenje akutne bolezni presadka proti gostitelju s kortikosteroidi pri teh bolnikih ni bilo uspešno. V študiji so proučevali delež bolnikov, ki so imeli po štirih tednih zdravljenja z zdravilom Jakavi manjše simptome (delni odziv) ali so bili brez simptomov (popolni odziv) oziroma so imeli najboljšo razpoložljivo obliko zdravljenja za svojo bolezen. Rezultati so pokazali, da je bil pri 62 % (96 od 154) bolnikov, ki so prejeli zdravilo Jakavi, dosežen popoln ali delen odziv na zdravljenje v primerjavi z 39 % (61 od 155) bolnikov, ki so prejeli drugo obliko zdravljenja.

V drugo študijo je bilo vključenih 329 odraslih in mladostnikov, starejših od 12 let, s kronično boleznijo presadka proti gostitelju zaradi alogenske presaditve matičnih celic. Zdravljenje kronične bolezni presadka proti gostitelju s kortikosteroidi pri teh bolnikih ni bilo uspešno. Po 24 tednih zdravljenja je

pri 50 % (82 od 165) bolnikov, ki so prejeli zdravilo Jakavi, prišlo do popolnega ali delnega odziva v primerjavi s 26 % (42 od 164) bolnikov, ki so prejeli najboljšo razpoložljivo obliko zdravljenja za svojo bolezen.

Podatki o tem, kako se zdravilo Jakavi obnaša v telesu, so pokazali, da je koncentracija zdravila v krvi podobna tisti, opaženi pri odraslih, kadar se zdravilo daje otrokom, mlajšim od 12 let, v priporočenih odmerkih za zdravljenje akutne in kronične bolezni presadka proti gostitelju.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Jakavi?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Jakavi glejte navodilo za uporabo.

Pri mielofibrozi so najpogostejši neželeni učinki zdravila Jakavi (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) trombocitopenija (nizko število krvnih ploščic), anemija (nizko število rdečih krvnih celic), nevtropenija (nizko število nevtrofilcev), krvavitve, podplutbe, hipertrigliceridemija (visoke ravni maščob v krvi), omotica in povišane vrednosti jetrnih encimov.

Pri pravi policitemiji so najpogostejši neželeni učinki zdravila Jakavi (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) trombocitopenija, anemija, povečanje telesne mase, glavobol, omotica, hiperholesterolemija (visoke ravni holesterola v krvi) in povišane ravni jetrnih encimov.

Pri akutni bolezni presadka proti gostitelju najpogostejši neželeni učinki zdravila Jakavi pri odraslih in mladostnikih (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) vključujejo trombocitopenijo, anemijo, nevtropenijo ter povišane ravni jetrnih encimov alanin aminotransferaze in aspartat aminotransferaze. Najpogostejši neželeni učinki zdravila Jakavi pri mladostnikih in otrocih (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so trombocitopenija, anemija, nevtropenija, hiperholesterolemija in povišane ravni alanin aminotransferaze.

Pri kronični bolezni presadka proti gostitelju najpogostejši neželeni učinki zdravila Jakavi pri odraslih in mladostnikih (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) vključujejo anemijo, hiperholesterolemijo in povečane ravni aspartat aminotransferaze. Najpogostejši neželeni učinki pri otrocih in mladostnikih (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) vključujejo nevtropenijo, hiperholesterolemijo in povišane ravni alanin aminotransferaze.

Nosečnice in doječe matere zdravila Jakavi ne smejo jemati.

Zakaj je bilo zdravilo Jakavi odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Jakavi večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Pri mielofibrozi je zmanjšanje velikosti vranice in simptomov pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Jakavi, klinično pomembno, kakovost življenja bolnikov pa se izboljša. Pri pravi policitemiji je agencija menila, da zdravilo Jakavi koristi bolnikom, kadar zdravljenje s hidroksikarbamidom ni bilo učinkovito ali jim ta učinkovina povzroča nesprejemljive neželene učinke. Pri zdravljenju bolezni presadka proti gostitelju se je izkazalo, da zdravilo Jakavi zmanjšuje simptome pri odraslih in mladostnikih, starejših od 12 let. Glede na način delovanja zdravila se pričakuje, da bo njegov profil učinkovitosti in varnosti pri zdravljenju akutne in kronične bolezni presadka proti gostitelju pri mlajših otrocih enak kot pri odraslih.

Z vidika varnosti je agencija menila, da je mogoče neželene učinke zdravila Jakavi ustrezno obvladati.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Jakavi?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Jakavi upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Jakavi stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Jakavi, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Jakavi

Za zdravilo Jakavi je bilo 23. avgusta 2012 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Jakavi so na voljo na spletni strani agencije:

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

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 12-2024.