



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Crysvita (*burosumab*)

Sammanfattning av Crysvita och varför det är godkänt inom EU

Vad är Crysvita och vad används det för?

Crysvita är ett läkemedel som används för att behandla X-kromosombunden hypofosfatemi, en ärftlig sjukdom som kännetecknas av låga fosfatnivåer i blodet (hypofosfatemi). Fosfat behövs för skelettets och tändernas uppbyggnad och stärkning, varför patienter med låga fosfatnivåer kan utveckla rakit och andra skelettmissbildningar och tillväxtproblem. Crysvita kan ges till barn och ungdomar i åldern 1–17 år, när tecken på skelettsjukdom syns på röntgen, samt till vuxna.

Crysvita används också för att behandla osteomalaci (uppmjukning och försvagning av skelettet) som orsakas av fosfaturiska mesenkymala tumörer. Denna typ av tumör producerar hormoner, särskilt substansen fibroblasttillväxtfaktor 23 (FGF23), som gör att kroppen förlorar fosfat. Crysvita ges till patienter från 1 års ålder, när tumören inte kan lokaliseras eller avlägsnas genom operation.

Crysvita innehåller den aktiva substansen burosumab.

Dessa sjukdomar är sällsynta och Crysvita klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar). Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens webbplats ([X-kromosombunden hypofosfatemi](#): 15 oktober 2014, [fosfaturisk mesenkymal tumör](#): 16 april 2018).

Hur används Crysvita?

Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska inledas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med skelettsjukdomar som orsakas av förändringar i kroppens kemiska processer.

Crysvita ges som en injektion under huden varannan eller var fjärde vecka, beroende på patientens ålder. Den rekommenderade startdosen beror på vilken sjukdom som behandlas och på patientens ålder och vikt. Dosen justeras också efter patientens fosfatnivåer i blodet.

För mer information om hur du använder Crysvita, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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.

Hur verkar Crysvida?

Fosfatnivåerna kontrolleras till stor del av njurarna, som antingen avlägsnar fosfatöverskottet eller återför det till blodomloppet, om så skulle behövas. Patienter med X-kromosombunden hypofosfatemi eller tumörinducerad osteomalaci har onormalt höga nivåer av FGF23, vilket gör att njurarna slutar att återföra fosfat till blodomloppet.

Crysvida är en monoklonal antikropp (en typ av protein) som har utformats för att känna igen och binda till FGF23-proteinet. Genom att binda till FGF23-proteinet blockerar läkemedlet dess aktivitet, så att njurarna kan återföra fosfat till blodomloppet och återställa normala fosfatnivåer i blodet.

Vilka fördelar med Crysvida har visats i studierna?

X-kromosombunden hypofosfatemi

Röntgen av patienter med X-kromosombunden hypofosfatemi visade att Crysvida minskade svårighetsgraden av rakit (skelettmissbildningar).

Läkemedlet bedömdes i en huvudstudie på 52 barn i åldern 5–12 år. Alla barn fick Crysvida antingen varannan vecka eller var fjärde vecka. Huvudeffektmåttet var en minskning av svårighetsgraden av rakit i handleder och knän uppmätt på en skala från 0 (normal) till 10 (svår). Det genomsnittliga värdet före behandling (baslinjevärdet) var 1,9 hos de barn som fick Crysvida varannan vecka, vilket sjönk med 1,0 poäng efter 64 veckors behandling. Hos dem som fick läkemedlet var fjärde vecka sjönk baslinjevärdet på 1,7 med 0,8 poäng. Dessutom förbättrades fosfatnivåerna i blodet med tiden i båda grupperna, särskilt hos dem som fick Crysvida varannan vecka. En studie på 13 yngre barn visade att Crysvida är effektivt hos dem som är mellan 1–4 år gamla.

I en annan studie undersöktes användningen av Crysvida på 134 vuxna. Patienterna fick Crysvida eller placebo (overksam behandling) var fjärde vecka i 24 veckor och huvudeffektmåttet var normaliseringen av fosfatnivåerna i blodet. Studien visade att fosfatnivåerna i blodet återgick till normala värden hos 94 procent av de patienter som fick Crysvida, jämfört med 8 procent av de patienter som fick placebo.

Tumörinducerad osteomalaci

Crysvida har visat sig öka fosfatnivåerna i blodet och förbättra skeletthälsan hos vuxna med tumörinducerad osteomalaci, där tumören inte kunde lokaliseras eller avlägsnas genom operation.

I en första studie på 14 vuxna med tumörinducerad osteomalaci uppnådde 7 patienter normala fosfatnivåer i blodet efter cirka sex månaders behandling. Dessutom sågs en förbättring av skeletthälsan efter omkring ett års behandling.

I en andra studie på 13 vuxna med tumörinducerad osteomalaci ökade fosfatnivåerna i blodet till normala nivåer och förblev stabila under hela studien (upp till 2,7 år).

Baserat på tillgängliga data från patienter under 18 år med X-kromosombunden hypofosfatemi och det faktum att både X-kromosombunden hypofosfatemi och tumörinducerad osteomalaci orsakas av höga nivåer av FGF23, förväntas Crysvida också vara effektivt hos barn och ungdomar med tumörinducerad osteomalaci.

Vilka är riskerna med Crysvida?

Hos barn är de vanligaste biverkningarna som orsakas av Crysvida (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) reaktioner på injektionsstället (t.ex. hudrodnad, klåda, hudutslag, smärta och

blåmärken), hosta, huvudvärk, feber, smärta i armar och ben, kräkningar, tandböld, sänkt D-vitaminnivå, diarré, hudutslag, illamående, förstoppning, karies (hål i tänderna) och muskelsmärta.

Hos vuxna är de vanligaste biverkningarna (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) ryggsmärta, reaktioner på injektionsstället, huvudvärk, tandinfektion, restless legs-syndrom, muskelspasmer, förstoppning, sänkt D-vitaminnivå och yrsel.

Orala fosfatpreparat och aktiva former av vitamin D (t.ex. kalcitriol) får inte tas under behandling med Crysvida. Crysvida får heller inte ges till patienter med höga fosfatnivåer i blodet eller till patienter med svår njursjukdom.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Crysvida finns i bipacksedeln.

Varför är Crysvida godkänt i EU?

Crysvida visade sig minska svårighetsgraden av skelettmissbildningar i handleder och knän och förbättra fosfatnivån i blodet hos barn med X-kromosombunden hypofosfatem. Läkemedlet var också effektivt för att förbättra fosfatnivån i blodet hos vuxna. Crysvida visade sig också ha gynnsamma effekter på fosfatnivåerna och skeletthälsan hos patienter med tumörinducerad osteomalaci. Läkemedlets biverkningar anses vara hanterbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Crysvida är större än riskerna och rekommenderade att Crysvida kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Crysvida?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Crysvida har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Crysvida kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Crysvida utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienter.

Mer information om Crysvida

Den 19 februari 2018 beviljades Crysvida ett villkorat godkännande för försäljning som gäller i hela EU. Den 21 september 2022 ändrades detta godkännande till ett fullständigt godkännande för försäljning.

Mer information om Crysvida finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 09-2022.