



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/86998/2025
EMA/H/C/004077

Darzalex (*daratumumab*)

Sammanfattning av Darzalex och varför det är godkänt inom EU

Vad är Darzalex och vad används det för?

Darzalex är ett läkemedel som används för att behandla följande tillstånd:

Multipelt myelom

Darzalex används för att behandla vuxna med multipelt myelom, en benmärgscancer som drabbar plasmaceller, en typ av vita blodkroppar som normalt hjälper till att bekämpa infektioner.

Till patienter med nydiagnostiserat multipelt myelom ges Darzalex i följande fall:

- I kombination med läkemedlen lenalidomid och dexametason eller med bortezomib, melfalan och prednison för att behandla patienter som inte kan få en autolog stamcellstransplantation (transplantation av patientens egna blodproducerande celler). Bortezomib, lenalidomid och melfalan används för att behandla multipelt myelom, medan dexametason och prednison hämmar immunsystemet.
- I kombination med bortezomib, lenalidomid och dexametason.
- I kombination med bortezomib, talidomid (ett annat läkemedel för behandling av multipelt myelom) och dexametason till patienter som kan få en autolog stamcellstransplantation.

Till patienter med tidigare behandlat multipelt myelom ges Darzalex i följande fall:

- I kombination med dexametason plus antingen lenalidomid eller bortezomib.
- I kombination med pomalidomid (ett annat läkemedel för behandling av multipelt myelom) och dexametason när sjukdomen inte har förbättrats med lenalidomid i kombination med proteasomhämmare (cancerläkemedel), eller när sjukdomen har förvärrats efter minst två behandlingar med dessa läkemedel.
- Som enda läkemedel när sjukdomen har kommit tillbaka efter behandling med cancerläkemedel (bland annat proteasomhämmare) och immunmodulerande läkemedel (som verkar på immunsystemet), eller när sjukdomen inte har förbättrats med dessa läkemedel.

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



Asymtomatiskt multipelt myelom

Darzalex används som enda läkemedel för att behandla vuxna med asymtomatiskt multipelt myelom, en tidig precancerös form av multipelt myelom med onormala plasmaceller i benmärgen. Det ges till patienter vars sjukdom löper hög risk att utvecklas till multipelt myelom.

Amyloidos med lätt immunglobulinkedja (AL-amyloidos)

Darzalex ges till patienter som nyligen diagnostiserats med AL-amyloidos, en blodsjukdom där amyloider (onormala proteiner) lagras i vävnader och organ och orsakar skada på dem. Det ges i kombination med cyklofosamid, bortezomib och dexametason.

Multipelt myelom och AL-amyloidos är sällsynta och Darzalex klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar). Mer information om klassificeringen som sär-läkemedel finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) webbplats ([multipelt myelom](#): 17 juli 2013, [AL-amyloidos](#): 25 maj 2018).

Darzalex innehåller den aktiva substansen daratumumab.

Hur används Darzalex?

Darzalex är receptbelagt och ska ges av sjukvårdspersonal. Den första dosen ska ges på en plats där återupplivningsutrustning finns tillgänglig i händelse av en allvarlig allergisk reaktion (anafylaxi).

Vid multipelt myelom, asymtomatiskt multipelt myelom och AL-amyloidos ges Darzalex genom injektion under huden. Vid vissa användningar vid multipelt myelom ges det genom infusion (dropp) i en ven. Hur ofta Darzalex ges beror på sjukdomen, vilka andra läkemedel som ges och huruvida patienterna kan få en transplantation eller inte. Behandlingen inleds vanligen med en dos Darzalex en gång i veckan. Före och efter behandlingen med Darzalex får patienterna läkemedel som minskar risken för infusionsrelaterade reaktioner. Om patienten får en allvarlig reaktion kan läkaren sakta ner infusionshastigheten eller avbryta behandlingen.

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

Hur verkar Darzalex?

Den aktiva substansen i Darzalex, daratumumab, är en monoklonal antikropp (en typ av protein) som har utformats för att binda till proteinet CD38, som finns i stora mängder på onormala vita blodkroppar vid multipelt myelom och AL-amyloidos. Genom att binda till CD38 på dessa celler aktiverar daratumumab immunsystemet till att döda de onormala vita blodkropparna.

Vilka fördelar med Darzalex har visats i studierna?

Tidigare behandlat multipelt myelom

Darzalex administrerat som enda läkemedel har undersökts i två huvudstudier på sammanlagt 196 patienter med multipelt myelom vars sjukdom återkom efter, eller inte svarade på, minst två tidigare behandlingar, inräknat en proteasomhämmare och ett immunmodulerande läkemedel. Huvudeffektmåttet var andelen patienter som svarade på behandlingen (definierat som att ett protein som produceras av multipelt myelom-celler försvann helt eller minskade med minst 50 procent). Omkring 29 procent av de patienter som fick Darzalex vid den rekommenderade dosen (31 av 106 patienter) svarade på behandlingen i den första studien, medan 36 procent (15 av 42 patienter)

svarade på behandlingen i den andra studien. I dessa studier jämfördes inte Darzalex med någon annan behandling.

Darzalex som gavs i kombination med dexametason och antingen lenalidomid eller bortezomib undersöktes i två ytterligare huvudstudier. Dessa gjordes på patienter vars multipla myelom förvärrades efter behandling med andra läkemedel eller inte svarade på behandlingen. Huvudeffektmåttet var hur länge patienterna levde utan att deras sjukdom förvärrades. I den första studien, som omfattade 569 patienter, levde 78 procent av de patienter som fick Darzalex i kombination med dexametason och lenalidomid 18 månader utan att sjukdomen förvärrades, jämfört med 52 procent av dem som fick dexametason och lenalidomid. I den andra studien, som omfattade 498 patienter, levde 61 procent av de patienter som fick Darzalex i kombination med dexametason och bortezomib 12 månader utan att sjukdomen förvärrades, jämfört med 27 procent av dem som fick dexametason och bortezomib.

Darzalex i kombination med pomalidomid och dexametason undersöktes på 304 patienter med multipelt myelom vars sjukdom förvärrades efter, eller inte svarade på, minst en tidigare behandling med lenalidomid och en proteasomhämmare. I denna studie levde de patienter som fick denna kombination cirka tolv månader utan att deras sjukdom förvärrades, jämfört med sju månader för dem som fick en kombination av endast pomalidomid och dexametason.

En annan studie som omfattade 522 patienter med multipelt myelom som förvärrats eller inte svarat på tidigare behandling visade att Darzalex givet som injektion under huden inte hade sämre effekt mot denna sjukdom än Darzalex givet som infusion i en ven. Sjukdomen svarade på behandlingen hos 41 procent (108 av 263) av de patienter som fick injektionen och hos 37 procent (96 av 259) av de patienter som fick infusionen.

Nydiagnostiserat multipelt myelom

Darzalex som gavs i kombination med dexametason och lenalidomid jämfördes med dexametason och lenalidomid hos patienter med nydiagnostiserat multipelt myelom som inte kunde få autolog stamcellstransplantation. Studien, som omfattade 737 patienter, visade att 70 procent av de patienter som fick Darzalex i kombination med dexametason och lenalidomid levde i 36 månader utan att deras sjukdom förvärrades, jämfört med 39 procent av dem som fick dexametason och lenalidomid.

Darzalex som gavs i kombination med bortezomib, melfalan och prednison jämfördes med en kombination av bortezomib, melfalan och prednison i en studie på 706 patienter med nydiagnostiserat multipelt myelom som inte kunde få en autolog stamcellstransplantation. Efter omkring 28 månader hade 70 procent (246 av 350) av patienterna som behandlades med Darzalex i kombination med de tre andra läkemedlen ingen försämring av sjukdomen, jämfört med 49 procent (174 av 356) av patienterna som behandlades med de tre andra läkemedlen.

Darzalex har också undersökts i två studier på patienter som kunde få en autolog stamcellstransplantation. I studien, som omfattade 1 085 patienter, jämfördes Darzalex kombinerat med bortezomib, talidomid och dexametason med en kombination av bortezomib, talidomid och dexametason utan Darzalex, som båda gavs i fyra behandlingscykler före transplantation och två cykler efteråt. När 100 dagar gått efter transplantationen var alla tecken på myelom borta hos omkring 29 procent av de patienter som fått Darzalex-kombinationen, jämfört med hos 20 procent av dem som fått enbart bortezomib, talidomid och dexametason.

I den andra studien ingick 709 vuxna som fick antingen bortezomib, lenalidomid och dexametason kombinerat med Darzalex, eller bortezomib, lenalidomid och dexametason utan Darzalex. De två olika kombinationerna gavs i fyra behandlingscykler före transplantation och i två cykler efteråt. De patienter som fick kombinationen med Darzalex fortsatte att få Darzalex i kombination med

lenalidomid som underhållsbehandling, medan de som fick bortezomib, lenalidomid och dexametason utan Darzalex fick underhållsbehandling med enbart lenalidomid. Omkring 48 månader efter att studien inleddes upplevde 14 procent (50 av 355) av de patienter som fick kombinationen med Darzalex en försämring av sin sjukdom, jämfört med 29 procent (103 av 354) av de patienter som fick bortezomib, lenalidomid och dexametason utan Darzalex.

I en annan studie, som omfattade 395 personer med obehandlat multipelt myelom för vilka stamcellstransplantation inte planerades, jämfördes behandling med Darzalex, bortezomib, lenalidomid och dexametason med samma behandling utan Darzalex. Huvudeffektmåttet var andelen patienter hos vilka en minimal kvarstående sjukdom inte längre är påvisbar i kroppen (minimal kvarvarande sjukdom). Minimal kvarvarande sjukdom avser det lilla antal cancerceller som kan finnas kvar efter behandlingen och potentiellt orsaka ett återfall. Minimal kvarvarande sjukdom uppnåddes hos 53 procent (105 av 197) av de patienter som fick behandlingen med Darzalex, jämfört med 35 procent (70 av 198) av dem som inte fick Darzalex. Dessutom upplevde 46 patienter som fick Darzalex en försämring av sin sjukdom eller avled 39 månader efter att studien inleddes, jämfört med 67 patienter som inte fick Darzalex.

AL-amyloidos

Darzalex som gavs i kombination med cyklofosfamid, bortezomib och dexametason jämfördes med en kombination av cyklofosfamid, bortezomib och dexametason utan Darzalex i en studie på 388 patienter med nydiagnostiserad AL-amyloidos. Huvudeffektmåttet var svaret på behandlingen baserat på en minskning av nivåerna av onormala proteiner i blodet. Omkring 53 procent av de patienter som fick kombinationsbehandlingen med Darzalex hade normala blodprovsresultat, jämfört med omkring 18 procent av de patienter som fick cyklofosfamid, bortezomib och dexametason.

Asymtomatiskt multipelt myelom

I en studie med 390 patienter med asymtomatiskt multipelt myelom med hög risk att utvecklas till multipelt myelom jämfördes behandling med Darzalex som enda behandling med aktiv övervakning (där ingen behandling ges, men patienterna följs noga med avseende på sjukdomsprogression).

Efter att patienterna hade deltagit i studien i genomsnitt i 65 månader hade de patienter som stod under aktiv övervakning levtt i genomsnitt 41,5 månader utan att sjukdomen förvärrades. Denna tid kunde inte beräknas för patienter som fick Darzalex på grund av det låga antalet patienter vars sjukdom förvärrats vid tidpunkten för analysen.

Dessutom visade studien att sjukdomens omfattning minskade hos 63,4 procent av de personer som tog Darzalex, jämfört med 2 procent hos de personer som aktivt övervakades.

Vilka är riskerna med Darzalex?

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

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Darzalex (kan förekomma hos minst 1 av 5 användare) är reaktioner i samband med infusionen eller injektionen, trötthet, svaghet, covid-19, feber, muskel- och skelettsmärta, illamående, diarré, förstoppning, perifert ödem (svullnad i fotleder och fötter), hosta, övre luftvägsinfektioner (t.ex. i näsa och svalg), andningssvårigheter, neutropeni (lågt antal neutrofiler, en typ av vita blodkroppar), anemi (lågt antal röda blodkroppar), trombocytopeni (lågt antal blodplättar) och perifer neuropati (nervskada i armar och ben).

Vissa biverkningar kan vara allvarliga. De vanligaste biverkningarna med Darzalex är pneumoni (lunginflammation), bronkit (inflammation i luftvägarna i lungorna), övre luftvägsinfektion, lungödem (vätskeansamling i lungorna), sepsis (blodförgiftning), influensa, feber, uttorkning, diarré,

förmaksflimmer (oregelbundna snabba sammandragningar i hjärtats övre kammare) och synkope (svimning).

Varför är Darzalex godkänt i EU?

EMA fann att fördelarna med Darzalex är större än riskerna och att Darzalex kan godkännas för försäljning i EU.

Vid multipelt myelom är Darzalex effektivt som enda läkemedel eller i kombination med andra läkemedel för att behandla patienter vars sjukdom har förvärrats trots tidigare behandling. Darzalex i kombination med andra läkemedel var också effektivt för att behandla patienter med nydiagnostiserat multipelt myelom vilka kan eller inte kan få en autolog stamcellstransplantation.

Hos patienter med nydiagnostiserad AL-amyloidosis ledde tillägg av Darzalex till cyklofosamid, bortezomib och dexametason till ökad effekt av denna standardbehandling.

Vid tidpunkten för godkännandet hade patienter med multipelt myelom och AL-amyloidosis begränsade behandlingsalternativ. Darzalex, som verkade på ett annat sätt än befintliga behandlingar, utgjorde ett behandlingsalternativ.

För patienter med asymtomatiskt multipelt myelom vilka löpte stor risk att utveckla multipelt myelom visade sig Darzalex förlänga den tid som patienterna levde utan att sjukdomen förvärrades. Vid tidpunkten för godkännandet var Darzalex det första läkemedel som godkänkts för behandling av asymtomatiskt multipelt myelom.

Darzalex biverkningar anses vara godtagbara och hanterbara.

Darzalex godkändes först enligt reglerna om "villkorat godkännande" eftersom det skulle komma ytterligare uppgifter om läkemedlet. Då företaget lämnat de ytterligare uppgifter som krävdes har godkännandet ändrats från villkorat godkännande till ett standardgodkännande.

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

Företaget kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial till all vårdpersonal som förväntas hantera läkemedlet, för att informera dem om att läkemedlet kan påverka resultaten av blodprov (indirekt antiglobulinprov) som används för att bestämma lämpligheten för blodtransfusioner. Patienter som ordineras Darzalex kommer att få ett patientkort med liknande information.

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

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

Mer information om Darzalex

Den 20 maj 2016 beviljades Darzalex ett villkorat godkännande för försäljning som gäller i hela EU. Den 28 april 2017 ändrades detta godkännande till ett standardgodkännande för försäljning.

Mer information om Darzalex finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/darzalex.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 07-2025.