



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701116/2017
EMA/H/C/006071

Ogsiveo (*nirogacestat*)

Sammanfattning av Ogsiveo och varför det är godkänt inom EU

Vad är Ogsiveo och vad används det för?

Ogsiveo är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med progressiva desmoidtumörer i behov av systemisk behandling (läkemedel som transporteras genom blodet och påverkar hela kroppen).

Desmoidtumörer utvecklas ur kroppens mjuka stödvävnader. De kan växa snabbt och skada närliggande vävnader och organ.

Progressiva desmoidtumörer är sällsynta och Ogsiveo klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 17 oktober 2019. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) [webbplats](#).

Ogsiveo innehåller den aktiva substansen nirogacestat.

Hur används Ogsiveo?

Ogsiveo är receptbelagt. Behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla cancer.

Läkemedlet finns som tabletter som ska tas genom munnen två gånger om dagen. Behandlingen kan fortsätta så länge patienten har nytta av den och inga oacceptabla biverkningar uppstår.

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

Hur verkar Ogsiveo?

Den aktiva substansen i Ogsiveo, nirogacestat, blockerar aktiviteten hos enzymet gammasekretas (en typ av protein). Detta enzym aktiverar i normala fall NOTCH (ett protein) som finns på cellernas yta och medverkar i celltillväxten.

Genom att blockera gammasekretas förhindrar nirogacestat NOTCH-aktivering och saktar ner tumörernas tillväxt.



Vilka fördelar med Ogsiveo har visats i studierna?

I en huvudstudie på 142 personer med progressiva desmoidtumörer jämfördes behandling med Ogsiveo med placebo (overksam behandling). Huvudeffektmåttet var progressionsfri överlevnad (den tid som patienterna levde utan att deras sjukdom förvärrades).

Utifrån de tillgängliga uppgifterna visade en utvärdering att omkring 85 procent av patienterna som fick Ogsiveo efter 12 månader inte hade upplevt någon försämring av sin sjukdom eller avlidit, jämfört med omkring 53 procent av dem som fick placebo.

I studien undersöktes dessutom effekten av Ogsiveo på tumörernas storlek (total responsfrekvens). Tumörerna krympte hos omkring 41 procent (29 av 70) av de patienter som tog Ogsiveo, jämfört med omkring 8 procent (6 av 72) av dem som tog placebo.

Vilka är riskerna med Ogsiveo?

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

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Ogsiveo (kan förekomma hos fler än 4 av 10 användare) är diarré, utslag, illamående, trötthet, hypofosfatemi (låga fosfatnivåer i blodet), huvudvärk, stomatit (inflammation i munslemhinnan) och, hos fertila kvinnor, skador på äggstockarna.

Vissa biverkningar kan vara allvarliga. Den vanligaste biverkningen som orsakas av Ogsiveo (kan förekomma hos fler än 1 av 10 personer) är prematurt klimakterium.

Ogsiveo får inte användas under graviditeten eller av fertila kvinnor som inte använder högeffektiva preventivmedel, eller av kvinnor som ammar.

Varför är Ogsiveo godkänt i EU?

Ogsiveo visade sig bromsa den förvärrade utvecklingen av desmoidtumörer, ett tillstånd för vilket det inte fanns något annat godkänt läkemedel och ingen standardbehandling vid tidpunkten för godkännandet.

När det gäller säkerheten kan Ogsiveo skada det ofödda barnet om det tas under graviditeten. Denna risk minimeras dock genom strikta åtgärder, inbegripet kravet på mycket effektiva preventivmedel. Det råder osäkerhet om hur Ogsiveo kan skada äggstockar och testiklar och dess potentiella effekt på fertiliteten. Denna risk nämns i produktinformationen och företaget måste lämna in ytterligare data för att ytterligare utvärdera den. Totalt sett anses de biverkningar som orsakas av Ogsiveo vara godtagbara med tanke på bristen på behandlingsalternativ och kan hanteras med dosjusteringar.

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

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

För att säkerställa att Ogsiveo används på ett säkert sätt måste företaget som marknadsför läkemedlet tillhandahålla en vägledning för hälso- och sjukvårdspersonal och ett kort till patienterna. Dessa material förklarar att intag av Ogsiveo under graviditeten kan skada ett ofött barn och ger vägledning om hur denna risk kan förebyggas. De kommer att informera hälso- och sjukvårdspersonal och personer som använder läkemedlet om att fertila kvinnor, liksom män med fertila kvinnliga partner, måste använda ett mycket effektivt preventivmedel under behandlingen med Ogsiveo och i en vecka efter den sista dosen.

Vägledningen kommer att informera hälso- och sjukvårdspersonal om att ett negativt graviditetstest krävs innan behandlingen med Ogsiveo inleds. Den kommer också att påminna dem om att Ogsiveo kan minska effekten av hormonella preventivmedel. Patientkortet kommer att råda användare att omedelbart kontakta sin läkare om de misstänker att de är gravida medan de tar Ogsiveo.

Företaget som marknadsför Ogsiveo måste också optimera beredningen av läkemedlet och det sätt på vilket det framställs för att säkerställa att föroreningsnivåerna ligger inom det godtagbara intervallet.

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

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

Mer information om Ogsiveo

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 08–2025.