



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voraxaze (*glukarpidas*)

Sammanfattning av Voraxaze och varför det är godkänt inom EU

Vad är Voraxaze och vad används det för?

Voraxaze är ett läkemedel som används för att sänka nivån av metotrexat (ett cancerläkemedel) i blodet. Det ges till vuxna och barn äldre än 28 dagar vars kropp inte kan avlägsna metotrexat tillräckligt snabbt eller som riskerar att drabbas av metotrexattoxicitet (när metotrexat är skadligt för normala celler och organ i kroppen).

Metotrexattoxicitet är sällsynt och Voraxaze klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 3 februari 2003. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här:

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

Voraxaze innehåller den aktiva substansen glukarpidas.

Hur används Voraxaze?

Voraxaze är receptbelagt och ska användas under överinseende av hälso- och sjukvårdspersonal. Det ges som en engångsinjektion i en ven inom 48–60 timmar efter inledningen av infusionen (dropp) av metotrexat när patienten löper risk för metotrexattoxicitet (baserat på metotrexatnivån i blodet).

Voraxaze används tillsammans med andra läkemedel för behandling av metotrexattoxicitet och stödjande åtgärder, till exempel att ge vätska.

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

Hur verkar Voraxaze?

Metotrexat hindrar celler från att växa genom att störa bildningen av DNA. Detta påverkar särskilt snabbväxande celler såsom cancerceller. Metotrexat kan dock även vara skadligt för andra normala celler och organ i kroppen. Denna skadliga effekt kallas metotrexattoxicitet. Metotrexattoxicitet är ett livshotande tillstånd.

Glukarpidas, den aktiva substansen i Voraxaze, är ett protein som kan omvandla metotrexat i blodet till ofarliga ämnen. Därmed sänks mängden metotrexat i blodet och risken för toxicitet minskar.

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



Eftersom glukarpidas inte kommer in i cellerna hindrar det inte metotrexat som redan finns inuti cancerceller från att behandla canceren.

Vilka fördelar med Voraxaze har visats i studierna?

I fyra studier på patienter som löpte risk att drabbas av metotrexattoxicitet fann man att Voraxaze var effektivt för att uppnå en kliniskt betydelsefull sänkning av metotrexatnivån i blodet (dvs. till en nivå där metotrexat inte längre orsakar skada). I studierna undersöktes 169 patienter hos vilka metotrexatnivån hade mätts med en metod som kallas högupplösande vätskekromatografi (HPLC) minst en gång efter den första dosen av Voraxaze. Voraxaze jämfördes inte med andra behandlingar.

I den första studien ingick patienter som löpte risk att drabbas av metotrexattoxicitet på grund av nedsatt njurfunktion eller för att de hade fått för mycket metotrexat intratekalt (genom injektion i vätskan som omger ryggmärgen). Behandling med Voraxaze uppnådde en kliniskt betydelsefull sänkning av metotrexatnivån i blodet hos 24 av 28 patienter (85,7 procent).

Två studier omfattade patienter som inte kunde avlägsna metotrexat från kroppen på grund av nedsatt njurfunktion. I dessa studier ledde behandling med Voraxaze till en kliniskt betydelsefull sänkning av metotrexatnivån i blodet hos 14 av 27 (51,9 procent) och 20 av 30 (66,7 procent) patienter.

I den sista studien fick patienter som inte kunde avlägsna metotrexat från kroppen på grund av nedsatt njurfunktion Voraxaze som enda behandling eller tillsammans med tymidin (en annan behandling för att sänka metotrexatnivån). Av dessa patienter uppnådde 46 av 84 patienter (54,8 procent) en kliniskt betydelsefull sänkning av metotrexatnivån i blodet. Av de patienter som fick Voraxaze och tymidin uppnådde 50 procent en kliniskt betydelsefull sänkning av metotrexat, jämfört med 59,5 procent av dem som enbart fick Voraxaze.

Generellt minskade den genomsnittliga metotrexatnivån i de fyra studierna med mellan 96,8 procent och 99,3 procent inom 15 minuter efter den första dosen av Voraxaze. Dessutom förblev metotrexatnivån stabil under 8–15 dagar.

Vilka är riskerna med Voraxaze?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Voraxaze (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är en brännande känsla, huvudvärk, parestesi (förmimmelser som domningar, stickningar och myrkrypningar), rodnad och värmekänsla.

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

Varför är Voraxaze godkänt i EU?

Metotrexattoxicitet är ett allvarligt, livshotande tillstånd som inträffar när njurarna inte avlägsnar läkemedlet i tillräcklig grad och det därför ansamlas i blodet och hela kroppen. Hos patienter som löper risk att drabbas av metotrexattoxicitet leder behandling med Voraxaze till en snabb och stor minskning av metotrexatnivån i blodet, som förblir låg i upp till 15 dagar efter behandling. Även om det finns begränsade data om Voraxazes säkerhet fann Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) att biverkningarna efter en dos av Voraxaze är godtagbara med tanke på hur allvarligt det är att drabbas av metotrexattoxicitet. EMA fann därför att fördelarna med Voraxaze är större än riskerna och att Voraxaze kan godkännas för försäljning i EU.

Voraxaze har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Voraxaze eftersom sjukdomen är sällsynt. EMA går varje

år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Voraxaze saknas för närvarande?

Eftersom Voraxaze har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall" ska företaget som marknadsför Voraxaze lämna in ytterligare data om Voraxazes säkerhet och effekt hos patienter som inte kan avlägsna metotrexat ur kroppen i tillräcklig grad.

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

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

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

Mer information om Voraxaze

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