



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/4229/2025
EMA/H/C/005636

Welireg (*belzutifan*)

Sammanfattning av Welireg och varför det är godkänt inom EU

Vad är Welireg och vad används det för?

Welireg är ett cancerläkemedel som används för att behandla följande patientgrupper:

- Vuxna med avancerad klarcellig njurcellscancer som har förvärrats trots två eller fler tidigare behandlingar, inklusive en PD-(L)1-hämmare och minst två typer av VEGF-målriktade läkemedel. "Avancerad" innebär att canceren har börjat sprida sig.
- Vuxna med von Hippel-Lindaus sjukdom som behöver behandling mot associerad, lokaliserad (begränsad till ett område i kroppen) njurcellscancer, hemangioblastom i centrala nervsystemet (en typ av hjärncancer) eller pankreatiska neuroendokrina tumörer (en typ av pankreascancer), och som inte kan genomgå kirurgiska ingrepp eller andra lokala behandlingar. von Hippel-Lindaus sjukdom är en genetisk sjukdom som medför en starkt ökad risk att utveckla tumörer och cystor i olika delar av kroppen.

Welireg innehåller den aktiva substansen belzutifan.

Hur används Welireg?

Welireg är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla cancer.

Welireg finns som tabletter som ska tas en gång om dagen genom munnen. Behandlingen fortsätter så länge den är till nytta för patienten eller tills patienten får oacceptabla biverkningar.

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

Hur verkar Welireg?

Den aktiva substansen i Welireg, belzutifan, verkar genom att blockera effekten av hypoxi-inducerbar faktor 2 alfa (HIF-2 α), ett protein som är inblandat i celltillväxt, bildning av nya blodkärl och tumörtillväxt. Genom att blockera effekten av detta protein kan belzutifan förhindra att nya blodkärl bildas och därmed skära av cancercellernas blodtillförsel, vilket hämmar deras tillväxt.



Vilka fördelar med Welireg har visats i studierna?

Avancerad klarcellig njurcellscancer

En huvudstudie har visat att Welireg är minst lika effektivt som ett annat godkänt cancerläkemedel, everolimus, när det gäller att behandla avancerad klarcellig njurcellscancer.

Studien, som omfattade 369 patienter vars tillstånd hade försämrats trots tidigare behandlingar, visade att de patienter som fick Welireg levde i omkring 22 månader, jämfört med omkring 18 månader för de patienter som fick everolimus. Dessutom levde de patienter som fick Welireg i genomsnitt 4,6 månader utan att cancer förvärrades, jämfört med 5,4 månader för de patienter som fick everolimus.

Tumörer associerade med von Hippel-Lindaus sjukdom

En huvudstudie har visat att Welireg är effektivt vid behandling av patienter med vissa tumörer associerade med von Hippel-Lindaus sjukdom.

Huvudeffektmåttet var andelen patienter med njurcellscancer som antingen inte hade några tecken på cancer eller vars cancer minskade efter behandling med Welireg. Totalt 41 av 61 patienter med denna cancer (67 procent) uppnådde detta svar, som upprätthölls i minst 18 månader hos 29 patienter. Svar sågs också hos patienter med hemangioblastom i centrala nervsystemet och pankreatiska neuroendokrina tumörer. I denna studie jämfördes inte Welireg med någon annan behandling eller med placebo (överksam behandling).

Vilka är riskerna med Welireg?

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

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Welireg (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är anemi (låga nivåer av röda blodkroppar), trötthet, illamående, dyspné (andningssvårighet), yrsel och hypoxi (minskad syretillförsel i kroppsvävnad). En del av de biverkningar som orsakas av Welireg kan vara allvarliga. De vanligaste är hypoxi, anemi och dyspné och kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare.

Användning av Welireg under graviditet kan orsaka missfall och allvarliga fosterskador. Welireg får därför inte användas av gravida kvinnor med tumörer associerade med von Hippel-Lindaus sjukdom och bör endast användas av gravida kvinnor med avancerad klarcellig njurcellscancer om läkaren anser att det är absolut nödvändigt. Kvinnor i fertil ålder måste göra ett graviditetstest innan de inleder behandlingen med Welireg för att bekräfta att de inte är gravida. De bör använda effektiva preventivmedel före och under behandling med Welireg och i minst en vecka efter avslutad behandling. Welireg kan minska effekten av hormonella preventivmedel. Kvinnor som tar Welireg måste därför även använda icke-hormonella preventivmedel, såsom kondom.

Varför är Welireg godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet fanns det begränsade behandlingsalternativ för vuxna med avancerad klarcellig njurcellscancer vars cancer hade förvärrats trots två eller fler tidigare behandlingar, däribland med en PD-(L)1-hämmare (en typ av cancerläkemedel) och minst två typer av VEGF-målriktade cancerläkemedel. En huvudstudie har visat att Welireg är minst lika effektivt som ett jämförelseläkemedel när det gäller att förlänga överlevnaden och fördröja sjukdomens förvärrande hos dessa patienter.

Vid tidpunkten för godkännandet fanns det ingen godkänd behandling för vuxna med tumörer associerade med von Hippel-Lindaus sjukdom. Även om huvudstudien, i vilken dessa patienter ingick, inte jämförde Welireg med någon annan cancerbehandling eller med placebo och endast omfattade ett litet antal patienter, visade den att Welireg var effektivt för att minska cancers storlek eller eliminera tecken på cancer.

När det gäller säkerheten var de biverkningar som orsakades av Welireg i studierna hanterbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Welireg är större än riskerna och att Welireg kan godkännas för försäljning i EU.

Welireg har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att det har beviljats på grundval av mindre omfattande data än vad som normalt krävs, på grund av att det tillgodoser ett ouppfyllt medicinskt behov. EMA anser att fördelarna med att ha läkemedlet tillgängligt tidigare uppväger riskerna vid användning av det i väntan på ytterligare belägg.

Företaget måste lämna ytterligare uppgifter om Welireg, närmare bestämt resultaten från två pågående studier för att bekräfta effekten och säkerheten av Welireg hos vuxna med vissa tumörer associerade med von Hippel-Lindaus sjukdom. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år.

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

Företaget som marknadsför Welireg kommer att tillhandahålla en vägledning för hälso- och sjukvårdspersonal samt ett informationskort till patienter, med information om riskerna för allvarliga fosterskador, vilka försiktighetsåtgärder som ska vidtas för att undvika graviditet under behandlingen och hur en kvinna ska gå tillväga om hon blir gravid under behandlingen.

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

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

Mer information om Welireg

Mer information om Welireg finns på EMA:s webbplats:

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