



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

28 februari 2025
EMA/77307/2025
EMA/H/C/006169

Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Kizfizo (temozolomid)

Förnyad prövning bekräftar avslaget

Efter förnyad prövning av sitt ursprungliga yttrande har Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) bekräftat sin rekommendation om att avslå ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet Kizfizo. Läkemedlet var avsett för behandling av barn med neuroblastom, en nervcellscancer.

EMA utfärdade sitt yttrande den 27 februari 2025 efter förnyad prövning. EMA utfärdade sitt ursprungliga yttrande den 14 november 2024. Företaget som ansökte om godkännande för Kizfizo är Orphelia Pharma.

Vad är Kizfizo och vad skulle det användas för?

Kizfizo utvecklades som ett cancerläkemedel för behandling av barn över 1 år med neuroblastom med hög risk. Det var avsett att användas i kombination med ett annat cancerläkemedel, antingen irinotekan eller topotekan, hos

- barn vars neuroblastom inte hade förbättrats med kemoterapi (andra läkemedel som används för att behandla cancer),
- barn vars sjukdom har kommit tillbaka och förvärrats efter tidigare kemoterapi och stamcellstransplantation (ett förfarande där en patients blodproducerande celler byts ut).

Kizfizo innehåller den aktiva substansen temozolomid och utvecklades som ett hybridläkemedel. Det innebär att det liknar ett "referensläkemedel" som innehåller samma aktiva substans, men att det finns vissa skillnader mellan dem.

Referensläkemedlet Temodal finns som kapslar eller ett pulver som bereds till en infusionsvätska, lösning (dropp) i en ven, medan Kizfizo är en vätska som tas genom munnen eller genom en slang som går från näsan till magsäcken.

Kizfizo klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 21 augusti 2019 för användning mot neuroblastom. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på [EMA:s webbplats](#).



Hur verkar Kizfizo?

Den aktiva substansen i Kizfizo, temozolomid, är ett alkylerande medel. I kroppen förändras den till en annan förening, MTIC. MTIC ändrar DNA på ett sätt som hindrar cellerna från att dela sig, vilket leder till att de dör. På så sätt förväntas temozolomid bromsa tillväxten av neuroblastom.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Referensläkemedlet Temodal är godkänt för en annan typ av cancer (glioblastom) men har använts för att behandla neuroblastom. Företaget har genomfört en studie för att undersöka om Kizfizo är bioekvivalent med Temodal. Två läkemedel är bioekvivalenta när de bildar samma halter av den aktiva substansen i kroppen och förväntas därmed ha samma effekt.

Företaget lämnade också in resultaten av en klinisk studie på 102 patienter i åldern upp till 21 år med neuroblastom som fick enbart temozolomid och i kombination med irinotekan eller topotekan. Huvudeffektmåttet var svaret på behandlingen. Företaget stödde dessa fynd med resultat från en observationsstudie som omfattade barn med neuroblastom som behandlades med temozolomid.

Vilka var de främsta skälen till att avslå ansökan om godkännande för försäljning?

EMA noterade att i både kliniska studier och observationsstudier (där temozolomid inte jämfördes med någon annan behandling) var andelen patienter som svarade på kombinationen av temozolomid plus irinotekan eller topotekan för liten för att visa att det är gynnsamt för patienterna. Dessutom var det inte möjligt att fastställa effekten av temozolomid på grundval av data från dessa studier.

EMA ansåg därför att balansen mellan nytta och risker med Kizfizo vid behandling av barn med neuroblastom inte kunde fastställas.

Efter en begäran från företaget granskade CHMP de tillgängliga uppgifterna på nytt och inhämtade även råd från en expertgrupp som ombads att besvara flera frågor om fördelarna med läkemedlet. Eftersom kommitténs betänkligheter inte var avhjälpta bekräftades det ursprungliga avslaget efter förnyad prövning.

Påverkar detta avslag patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att beslutet inte får några följder för patienter i kliniska prövningar med Kizfizo.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.