



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100087/2023
EMA/H/C/005896

Hyftor (*sirolimuusi*)

Yleistiedot Hyftor-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Hyftor on ja mihin sitä käytetään?

Hyftor-valmistetta käytetään tuberoosiskleroosi-nimisen geneettisen sairauden aiheuttamien kasvojen hyvänlaatuisten (syöpään liittymättömien) ihokasvainten hoitoon (kasvojen angiofibrooma). Sitä käytetään aikuisilla ja vähintään 6-vuotiailla lapsilla.

Tuberoosiskleroosi on harvinainen sairaus, ja Hyftor nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 23. elokuuta 2017. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Hyftor on ns. hybridilääke. Tämä tarkoittaa sitä, että se on samankaltainen kuin samaa vaikuttavaa ainetta sisältävä viitevalmiste, mutta Hyftoria annetaan eri tavalla. Viitevalmiste Rapamune otetaan suun kautta (tabletit tai juotava neste), kun taas Hyftoria on saatavana iholle levitettävänä geelinä.

Hyftorin vaikuttava aine on sirolimuusi.

Miten Hyftoria käytetään?

Hyftor-lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Sitä on saatavana geelinä, jota levitetään kahdesti vuorokaudessa ihoalueille, joilla on angiofibroomaa. Jos hoitovaikutusta ei havaita 12 viikon jälkeen, hoito on lopetettava.

Lisätietoja Hyftorin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Hyftor vaikuttaa?

Hyftorin vaikutustapaa tuberoosiskleroosista johtuvassa kasvojen angiofibroomassa ei täysin tunneta. Hyftorin vaikuttava aine sirolimuusi vaikuttaa salpaamalla nisäkkään rapamysiinin kohde -nimisen entsyymin (mTOR) toimintaa. Kyseisen solujen jakautumista säätelevän entsyymin aktiivisuus on lisääntynyt kasvainten soluissa tuberoosiskleroosia sairastavilla potilailla. mTOR-proteiinia salpaamalla sirolimuusi pysäyttää kasvainsolujen jakautumisen, minkä odotetaan vähentävän sairauteen liittyvien ihokasvainten kasvua.

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



Mitä hyötyä Hyftorista on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimus osoitti, että Hyftor on tehokas kasvojen angiofibroomamuutosten vähentämisessä. Tutkimukseen osallistui aikuisia ja vähintään 6-vuotiaita lapsia, joilla oli tuberoosiskleroosista johtuva kasvojen angiofibroma. Yhteensä 12 viikon hoidon jälkeen kasvojen angiofibroomien koko ja punoitus vähenivät tai vähenivät huomattavasti 18 potilaalla 30:stä, jotka käyttivät Hyftoria (60 prosenttia). Näin ei ollut yhdelläkään geelimuotoista lumelääkettä saaneista 32 potilaasta (0 prosenttia).

Mitä riskejä Hyftoriin liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Hyftorin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Hyftorin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat hoitoalueen ärsytys, ihon kuivuminen, akne ja ihon kutina.

Miksi Hyftor on hyväksytty EU:ssa?

Hyftorin on osoitettu pienentävän tuberoosiskleroosista johtuvien kasvojen angiofibroomamuutosten kokoa ja vähentävän niiden punoitusta aikuisilla ja vähintään 6-vuotiailla lapsilla, minkä katsotaan olevan merkittävä hyöty. Lääkkeen turvallisuusprofiilia pidetään hyväksyttävänä. Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Hyftorin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Hyftorin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Hyftorin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Hyftorin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Hyftorista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Hyftor-valmisteesta

Lisää tietoa Hyftorista on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hyftor.