



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/622089/2020
EMA/H/C/005031

Elzonris (*tagraksofusp*)

Pregled zdravila Elzonris in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Elzonris in za kaj se uporablja?

Elzonris je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje odraslih z neoplazmo blastnih plazmacitoidnih dendritičnih celic (BPDCN), tj. vrsto krvnega raka, ki lahko prizadene številne organe, vključno s kožo, kostnim mozgom (gobastim tkivom v velikih kosteh) in limfnimi vozli.

BPDCN je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Elzonris 11. novembra 2015 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567.

Zdravilo Elzonris vsebuje učinkovino tagraksofusp.

Kako se zdravilo Elzonris uporablja?

Zdravilo Elzonris je na voljo kot (kapalna) infuzija v veno, njegovo predpisovanje in izdaja pa je le na recept. Daje se lahko samo pod nadzorom zdravnika z izkušnjami pri uporabi zdravil za zdravljenje raka in v okolju, kjer je na voljo oprema za oživljanje.

Priporočeni odmerek je 12 mikrogramov na kilogram telesne mase enkrat na dan v obliki 15-minutne infuzije. Zdravilo Elzonris se daje prvih pet dni 21-dnevnega cikla; cikli se ponavljajo, razen če se bolezen poslabša ali se pri bolniku pojavijo nesprejemljivi neželeni učinki.

Prvi cikel se da v bolnišnici, bolnike pa je treba vsaj 24 ur po zadnji infuziji spremljati glede pojava neželenih učinkov. Naslednji cikli se lahko dajo v ambulantnem okolju, kjer je na voljo oprema za intenzivno spremljanje bolnikov, ki se zdravijo zaradi krvnega raka.

Približno eno uro pred vsako infuzijo morajo bolniki prejeti antihistaminike, kortikosteroid in paracetamol, da se zmanjša tveganje za alergijam podobne reakcije.

Za več informacij glede uporabe zdravila Elzonris glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Elzonris deluje?

Učinkovina v zdravilu Elzonris, tagraksofusp, je sestavljena iz toksina davice (snov, ki je strupena za celice), ki se veže na beljakovino, imenovano interlevkin-3. Del zdravila z interlevkinom-3 se pritrdi na

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



receptorje (tarče), ki jih v velikem številu vsebujejo celice BPDCN. Po pritrditvi na rakave celice zdravilo vstopi vanje, nato pa se v njih sprosti toksin, ki jih uniči. To naj bi preprečilo širjenje raka in zmanjšalo simptome bolezni.

Kakšne koristi zdravila Elzonris so se pokazale v študijah?

Zdravilo Elzonris so preučevali v eni študiji s 84 odraslimi z BPDCN (65 jih je bilo predhodno nezdravljenih, 19 pa jih je bilo predhodno zdravljenih z drugimi zdravili).

Študija je pokazala, da po zdravljenju z zdravilom Elzonris 57 % (37 od 65) predhodno nezdravljenih bolnikov ni imelo znakov bolezni ali je imelo manjše kožne poškodbe. Poleg tega je bilo pri okrog tretjini (21 od 65) teh bolnikov mogoče opraviti presaditev matičnih celic (postopek, pri katerem se bolnikov kostni mozeg nadomesti z matičnimi celicami darovalca, kar omogoči tvorbo novega kostnega mozga, ki proizvaja zdrave celice), to pa je pripomoglo k temu, da so bolniki živeli dlje.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Elzonris?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Elzonris (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 5 bolnikov) so hipoalbuminemija (nizka raven albumina v krvi), zvišane ravni transaminaz v krvi (znak težav z jetri), trombocitopenija (nizko število trombocitov), navzeja (siljenje na bruhanje), utrujenost in zvišana telesna temperatura.

Najresnejši neželeni učinek, ki se lahko pojavi med zdravljenjem z zdravilom Elzonris, je sindrom kapilarnega puščanja (nepredvidljiv, smrtno nevaren neželeni učinek, ki ga povzroči iztekanje krvi iz majhnih krvnih žil); pojavi se lahko pri največ 1 od 5 bolnikov.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Elzonris glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Elzonris odobreno v EU?

Čeprav je bila študija majhna in zdravila Elzonris niso primerjali z drugimi oblikami zdravljenja, je Evropska agencija za zdravila menila, da bi bila izvedba večje študije za to redko bolezen zahtevna. Po preučitvi dodatnih nasvetov strokovnjakov za zadevno področje je agencija zaključila, da koristi zdravila Elzonris odtehtajo njegova tveganja pri bolnikih z BPDCN, ki še niso bili zdravljeni, in da se zdravilo lahko odobri za uporabo v EU. Podatki pa niso omogočali oblikovanja enakega zaključka za bolnike, pri katerih predhodne oblike zdravljenja niso učinkovale. Ocenjeno je bilo, da je varnost zdravila Elzonris sprejemljiva, če so vzpostavljeni posebni ukrepi za zmanjšanje tveganja najresnejših neželenih učinkov.

Zdravilo Elzonris je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Elzonris še pričakujemo?

Ker je zdravilo Elzonris pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo podjetje, ki ga trži, zagotovilo rezultate študije, ki temelji na registru bolnikov z BPDCN, da bi nadalje opredelili učinkovitost in varnost zdravila Elzonris.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Elzonris?

Podjetje, ki trži zdravilo Elzonris, bo zagotovilo izobraževalno gradivo za zdravstvene delavce in opozorilno kartico za bolnike s pomembnimi informacijami o sindromu kapilarnega puščanja.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Elzonris upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Elzonris stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Elzonris, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Elzonris

Nadaljnje informacije za zdravilo Elzonris so na voljo na spletni strani agencije:

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

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 12-2020.