



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Elzonris (*tagraxofusp*)

Sammanfattning av Elzonris och varför det är godkänt inom EU

Vad är Elzonris och vad används det för?

Elzonris är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med blastisk plasmacytoid dendritcellsneoplasmi (BPCDN), en typ av blodcancer som kan drabba flera organ såsom huden, benmärgen (den svampaktiga vävnaden inuti de större skelettbenen) och lymfkörtlarna.

BPCDN är sällsynt och Elzonris klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 11 november 2015. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567.

Elzonris innehåller den aktiva substansen tagraxofusp.

Hur används Elzonris?

Elzonris ges som infusion (dropp) i en ven och är receptbelagt. Det ska endast ges under överinseende av läkare som har erfarenhet av att använda cancerläkemedel och på en plats där man har tillgång till utrustning för återupplivning.

Rekommenderad dos är 12 mikrogram per kilo kroppsvikt, som ges som infusion under 15 minuter en gång dagligen. Elzonris ges under de första 5 dagarna i en 21-dagarscykel. Cyklerna upprepas om inte sjukdomen förvärras eller patienten får oacceptabla biverkningar.

Den första cykeln genomförs på sjukhus och patienten ska övervakas avseende biverkningar i minst ett dygn efter den sista infusionen. Efterföljande cykler kan äga rum inom öppenvården där det finns utrustning för intensiv övervakning av patienter som behandlas för blodcancer.

Omkring en timme före varje infusion ska patienten få antihistamin, en kortikosteroid samt paracetamol för att minska risken för allergiska reaktioner.

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

Hur verkar Elzonris?

Den aktiva substansen i Elzonris, tagraxofusp, är tillverkad av difteritoxin (ett ämnen som är giftigt för celler), som har kopplats till ett protein som kallas interleukin 3. Interleukin 3-delen av läkemedlet

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



fäster på receptorer (mål) som finns i ett stort antal på BPDCN-celler. När det väl har fäst på cancercellerna tar dessa upp läkemedlet, varpå toxinet frisätts inuti cellerna och dödar dem. Detta förväntas förhindra spridning av cancer och minska symtomen på sjukdomen.

Vilka fördelar med Elzonris har visats i studierna?

Elzonris har undersökts i en studie på 84 vuxna med BPDCN (65 som inte behandlats tidigare och 19 som tidigare behandlats med andra läkemedel).

Studien visade att 57 procent (37 av 65) av de tidigare obehandlade patienterna inte hade några sjukdomssymtom eller endast hade minimala hudskador efter behandling med Elzonris. Dessutom kunde omkring en tredjedel (21 av 65) av dessa patienter genomgå stamcellstransplantation (en operation där patientens benmärg byts ut mot stamceller från en donator så att ny benmärg bildas som producerar friska celler) vilket bidrog till att patienterna levde längre.

Vilka är riskerna med Elzonris?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Elzonris (kan förekomma hos fler än 1 av 5 användare) är hypoalbuminemi (låga albuminnivåer i blodet), förhöjda transaminaser i blodet (tecken på leverproblem), trombocytopeni (lågt antal blodplättar), illamående, trötthet och feber.

Den allvarligaste biverkningen som kan förekomma under behandling med Elzonris är kapillärläckagesyndrom (en oförutsägbar och livshotande biverkning som innebär att de små blodkärlen läcker) som kan förekomma hos upp till 1 av 5 användare.

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

Varför är Elzonris godkänt i EU?

Även om studien var liten och Elzonris inte jämfördes med andra behandlingar fann Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) att det är svårt att utföra några större studier av denna sällsynta sjukdom. Efter att ha beaktat ytterligare råd från experter på området fann myndigheten att fördelarna med Elzonris är större än riskerna hos patienter med BPDCN som ännu inte fått någon annan behandling, och att läkemedlet kan godkännas för försäljning i EU. Uppgifterna var dock inte tillräckliga för att samma slutsats skulle kunna dras för patienter för vilka tidigare behandlingar inte fungerat. Säkerheten för Elzonris ansågs godtagbar när specifika åtgärder vidtagits för att minimera riskerna för de allvarligaste biverkningarna.

Elzonris har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte har varit möjligt att få fullständig information om Elzonris eftersom sjukdomen är sällsynt. Myndigheten går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Elzonris saknas för närvarande?

Eftersom Elzonris har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall" ska företaget som marknadsför Elzonris lämna in resultat av en studie baserad på ett register över patienter med BPDCN, för att ytterligare beskriva Elzonris effekt och säkerhet.

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

Företaget som marknadsför Elzonris kommer att ta fram utbildningsmaterial för hälso- och sjukvårdspersonal samt ett patientkort för patienter, som innehåller viktig information om kapillärläckagesyndrom.

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

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

Mer information om Elzonris

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 12-2020.