

Nové léčivé přípravky a změny v indikaci léčivých přípravků podle EMA

Uvádíme výběr nových léčivých přípravků, u nichž Evropská léková agentura (European Medicines Agency, EMA) zaujala kladné stanovisko k udělení rozhodnutí o registraci, a výběr léčivých přípravků, u kterých Výbor pro humánní léčivé přípravky (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) přijal rozšíření indikací.

Nové léčivé přípravky

Brinsupri

Léčivý přípravek Brinsupri je určen k léčbě bronchiectazií u necystické fibrózy u pacientů ve věku 12 let a starších. Účinnou látkou je brensocatib, kompetitivní, reverzibilní inhibitor dipeptidylpeptidázy 1. Brensocatib snižuje aktivitu neutrofilních serinových proteáz zapojených do patogeneze bronchiectazií, včetně neutrofilní elastázy, katepsinu G a proteinázy 3. Žadatelem o registraci je Insmed Netherlands B.V.

Wayrilz

Wayrilz je léčivý přípravek indikovaný k léčbě imunitní trombocytopenie (ITP) u dospělých pacientů, kteří nereagují na jiné druhy léčby. Účinnou látkou je rilzabrutinib, inhibitor Brutonovy tyrozinkinázy. Svůj terapeutický účinek zprostředkovává multiimunitní modulací; inhibicí aktivity B buněk, přerušením fagocytózy zprostředkované FcγR a potenciálním zmírněním chronického zánětu spojeného s ITP. Žadatelem o registraci je Sanofi B.V.

Austedo

Léčivý přípravek Austedo je určen k léčbě dospělých se středně těžkou až těžkou tardivní dyskinezi. Účinnou látkou je deutetabenazin, reverzibilní inhibitor vezikulárního transportéru monoaminů 2 (VMAT2). Jeho inhibicí deutetabenazin snižuje vychytávání monoaminů (jako je

dopamin, serotonin, norepinefrin a histamin) do synaptických váčků, což vede k vyčerpání zásob monoaminů v dopaminergních oblastech mozku (např. striatum a kortex). Žadatelem o registraci je TEVA GmbH.

Dawnzera

Léčivý přípravek Dawnzera je určen k rutinní prevenci opakujících se atak hereditárního angioedému (HAE) u dospělých a dospívajících ve věku 12 let a starších. Účinnou látkou je donidalorsen, antisense oligonukleotid konjugovaný s triantenárním N-acetylglaktosaminem (GalNAc3). Donidalorsen způsobuje degradaci prekallikreinové (PKK) mRNA, což vede ke snížené produkci proteinu PKK. PKK je proenzym plazmatického kallikreinu, který indukuje uvolňování bradykininu, silného vazodilatans způsobujícího zánět a otok u HAE. Žadatelem o registraci je Otsuka Pharmaceutical Netherlands B.V.

Inluriyo

Inluriyo je léčivý přípravek indikovaný jako monoterapie k léčbě dospělých pacientek s ER (estrogenní receptor)-pozitivním, HER2-negativním lokálně pokročilým nebo metastatickým karcinomem prsu s aktivační mutací ESR1, u kterých došlo k progresi onemocnění po předchozí léčbě endokrinním režimem. Účinnou látkou je imlunestrant, antiestrogenní léčivo – antagonist a degradátor divokého a mutančního estrogenového receptoru alfa (ERα), což vede k inhibici transkripce genů závislých na ER a buněčné

proliferace ER-pozitivních buněk karcinomu prsu. Žadatelem o registraci je Eli Lilly Nederland B.V.

TeiZeild

Léčivý přípravek TeiZeild je indikován k oddálení nástupu diabetes mellitus 1. typu (DM1) 3. stadia u dospělých a pediatrických pacientů ve věku 8 let a starších s DM1 2. stadia. Účinnou látkou je teplizumab, humanizovaná monoklonální protilátka IgG₁, která se váže na řetězec CD3ε komplexu T buněčného receptoru (TCR) na lidských T lymfocytech. Mechanismus účinku teplizumabu není zcela objasněn, ale předpokládá se, že zahrnuje částečnou agonistickou signalizaci a deaktivaci autoreaktivních T lymfocytů vůči pankreatickým beta buňkám. Žadatelem o registraci je Sanofi Winthrop Industrie.

VacPertagen

Léčivý přípravek VacPertagen je určen k posilující imunizaci (booster) proti pertusi u jedinců ve věku 12 let a starších a k pasivní ochraně proti pertusi v raném kojeneckém věku po imunizaci matky během těhotenství. Jde o rekombinantní, acelulární, adsorbovanou vakcínu proti pertusi. Žadatelem o registraci je BioNet Europe.

Waskyra

Léčivý přípravek Waskyra je indikován k léčbě pacientů ve věku 6 měsíců a starších s Wiskottovým–Aldrichovým syndromem (WAS) s mutací v genu WAS, u kterých je vhodná transplantace hematopoetických kmenových buněk a u nichž není k dispozici vhodný dárcce hematopoetických kmenových buněk s odpovídajícím lidským leukocytárním antigenem. Jde o genovou terapii, která vkládá opravený gen WAS do genomu buňky. Podstatou je geneticky modifikovaná populace autologních CD34+ hematopoetických kmenových buněk, které byly transdukovány *ex vivo* lenti-virovým vektorem kódujícím lidský protein WAS. Žadatelem o registraci je Fondazione Telethon ETS.

Osqay

Osqay je biosimilární léčivý přípravek určený k léčbě osteoporózy u žen po menopauze, u mužů s karcinomem prostaty, kteří jsou vystaveni zvýšenému riziku zlomenin a jejichž úbytek kostní hmoty souvisí s hormonální ablací, a lidí, jejichž úbytek kostní hmoty souvisí s dlouhodobou léčbou systémovými glukokortikoidy. Účinnou látkou je denosumab cílící na protein RANKL. Denosumab vazbou na RANKL zabráňuje interakci mezi RANKL a RANK,

Ilustrační foto. Všechny osoby jsou modelem. Zdroj: iStock



což vede k redukci počtu a funkce osteoklastů a ke snížení kostní resorpce v kortikálních a trabekulárních kostech. Referenčním přípravkem je Prolia. Žadatelem o registraci je Theramex Ireland Ltd.

Ondibta

Ondibta je biosimilární přípravek indikovaný k terapii diabetes mellitus u dospělých, dospívajících a dětí ve věku od 2 let. Účinnou látkou je inzulin glargin, analog inzulínu s dlouhodobým účinkem. Referenčním přípravkem je Lantus. Žadatelem o registraci je Gan & Lee Pharmaceuticals Europe GmbH.

Rozšíření nebo změny indikací léčivých přípravků

Breyanzi

Léčivý přípravek Breyanzi obsahuje lisocabtagene maraleucel. Přípravek je nově indikován k léčbě dospělých pacientů s relabujícím nebo refrakterním lymfomem z pláštěvých buněk (MCL) po alespoň dvou liniích systémové terapie zahrnující inhibitor Brutonovy tyrozinkinázy. Držitelem rozhodnutí o registraci je Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG.

Cejemly

Léčivý přípravek Cejemly obsahuje sugemalimab. Přípravek je v monoterapii nově indikován k léčbě neresekovatelného nemalobuněčného karcinomu plic (NSCLC) stadia III bez senzibilizujících mutací EGFR (epidermal growth factor receptor) nebo genomových aberací nádoru ALK, ROS1 u dospělých, jejichž nádory exprimují PD-L1 (programmed death ligand 1) na $\geq 1\%$ nádorových buněk a jejichž onemocnění po chemoradioterapii na bázi platiny neprogredovalo. Držitelem rozhodnutí o registraci je CStone Pharmaceuticals Ireland Limited.

Gazyvaro

Léčivý přípravek Gazyvaro obsahuje obinutuzumab. Přípravek je v kombinaci s mofetil-mykofenolátem nově indikován k léčbě dospělých pacientů s aktivní lupusovou nefritidou třídy III nebo IV bez souběžné lupusové nefritidy třídy V. Držitelem rozhodnutí o registraci je Roche Registration GmbH.

Libtayo

Léčivý přípravek Libtayo obsahuje cemiplimab. Přípravek je v monoterapii indikován k adjuvantní léčbě dospělých pacientů s dlaždicobuněčným karcinomem kůže s vysokým rizikem recidivy po operaci a ozařování. Držitelem rozhodnutí o registraci je Regeneron Ireland Designated Activity Company.

Paxlovid

Léčivý přípravek Paxlovid obsahuje fixní kombinaci nirmatrelviru/ritonaviru. Indikace k léčbě onemocnění covid-19 byla rozšířena na pediatrické pacienty ve věku 6 let a starší s hmotností alespoň 20 kg. Držitelem rozhodnutí o registraci je Pfizer Europe MA EEIG.

Pyrukynd

Léčivý přípravek Pyrukynd obsahuje mitupivat. Přípravek je nově indikován u dospělých k léčbě anémie spojené s alfa- nebo beta-talasemií závislou na transfuzi i na transfuzi nezávislou. Držitelem rozhodnutí o registraci je Agios Netherlands B.V.

Tremfya

Léčivý přípravek Tremfya obsahuje guselkumab. Přípravek je nově indikován k léčbě středně těžké až těžké ložiskové psoriázy u dětí ve věku od 6 let a dospívajících, kteří jsou kandidáty na systémovou léčbu. Držitelem rozhodnutí o registraci je Janssen-Cilag International NV.

Scemblix

Léčivý přípravek Scemblix obsahuje asciminib. V indikaci pro léčbu dospělých pacientů s chronickou myeloidní leukémií s pozitivním filadelfským chromozomem v chronické fázi již pacienti nemusejí být předlěčeni dvěma nebo více inhibitory tyrozinkinázy. Držitelem rozhodnutí o registraci je Novartis Europharm Limited.

Koselugo

Léčivý přípravek Koselugo obsahuje selumetinib. CHMP schválil novou lékovou formu, granule v kapslích k otevření ve dvou silách (5 mg a 7,5 mg), spolu s rozšířením stávající indikace. Přípravek je v monoterapii indikován k léčbě symptomatických, neoperovatelných plexiformních neurofibromů u pacientů s neurofibromatózou typu 1 nově ve věku již od 1 roku do méně než 7 let a u starších pacientů s polykacímí obtížemi. Držitelem rozhodnutí o registraci je AstraZeneca AB.

Minjuvi

Léčivý přípravek Minjuvi obsahuje tafasitamab. Přípravek je nově indikován v kombinaci s lenalidomidem a rituximabem k léčbě dospělých pacientů s relabujícím nebo refrakterním folikulárním lymfomem (stupeň 1–3a) po alespoň jedné linii systémové terapie. Držitelem rozhodnutí o registraci je Incyte Biosciences Distribution B.V.

Veyvondi

Léčivý přípravek Veyvondi obsahuje vonicog alfa. Přípravek je nově indikován k léčbě krvácení u dětí (mladších 18 let) s von Willebrandovou chorobou, pokud je léčba samotným desmopresinem neúčinná nebo kontraindikována. Držitelem rozhodnutí o registraci je Baxalta Innovations GmbH.

Xerava

Léčivý přípravek Xerava obsahuje eravacyklin. Přípravek je v léčbě komplikovaných nitrobršních infekcí nově indikován vedle dospělých také u dospívajících ve věku od 12 let s hmotností alespoň 50 kg. Držitelem rozhodnutí o registraci je Paion Pharma GmbH.

Redakčně zpracovala PharmDr. Kateřina Viktorová

Literatura

Positive opinion, recommending the granting of a marketing authorisation for the medicinal product. Dostupné na: www.ema.europa.eu