



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244286/2021
EMA/H/C/005244

Koselugo (*selumetinib*)

Información general sobre Koselugo y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Koselugo y para qué se utiliza?

Koselugo es un medicamento que se utiliza para tratar los neurofibromas plexiformes, tumores benignos (no cancerosos) a lo largo de los nervios, cuando presentan síntomas y no pueden extirparse mediante cirugía en pacientes pediátricos de 3 años en adelante con neurofibromatosis de tipo 1 (NF1).

La NF1 es una enfermedad «rara», y Koselugo fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 31 de julio de 2018. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050.

Koselugo contiene el principio activo selumetinib.

¿Cómo se usa Koselugo?

Koselugo se presenta en forma de cápsulas y solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento debe iniciarlo un médico con experiencia en el diagnóstico y el tratamiento de tumores relacionados con la NF1.

La dosis recomendada de Koselugo varía en función del peso y la estatura del paciente. El medicamento se toma dos veces al día, con aproximadamente 12 horas de diferencia, con el estómago vacío. No debe administrarse a pacientes que no puedan tragar la cápsula entera.

Antes y durante el tratamiento con Koselugo, el médico comprobará el funcionamiento del corazón, los ojos y el hígado del paciente. El tratamiento debe mantenerse mientras el paciente mejore o permanezca estable y los efectos adversos sean tolerables. El médico puede reducir la dosis o interrumpir el tratamiento temporalmente si se producen determinados efectos adversos.

Para mayor información sobre el uso de Koselugo, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Koselugo?

El principio activo de Koselugo, el selumetinib, bloquea unas enzimas llamadas MEK1 y MEK2 (MEK1/2) que intervienen en la estimulación del crecimiento celular. Las MEK1/2 presentan una actividad excesiva en la NF1, lo que hace que las células tumorales crezcan de forma descontrolada. Al bloquear estas enzimas, Koselugo ayuda a ralentizar el crecimiento de las células tumorales.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Koselugo en los estudios realizados?

En un estudio principal se observó que Koselugo es eficaz en el tratamiento de los neurofibromas plexiformes en pacientes pediátricos con NF1 para reducir el tamaño de estos tumores. En el estudio, el tamaño tumoral disminuyó al menos un 20 % en 33 de 50 (66 %) pacientes pediátricos de 3 años en adelante con NF1 y neurofibromas plexiformes que no podían extirparse mediante cirugía. En el estudio, Koselugo no se comparó con ningún otro medicamento.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Koselugo?

Los efectos adversos más frecuentes de Koselugo (pueden afectar a más de 4 de cada 10 pacientes) son vómitos, erupción cutánea, aumento de la creatina fosfocinasa en sangre (una enzima que se libera en la sangre cuando el músculo está dañado), diarrea, náuseas, episodios de astenia (sensación de debilidad), piel seca, fiebre, erupción acneiforme (una erupción parecida al acné), hipoalbuminemia (niveles bajos de albúmina, una proteína de la sangre), aumento de la aspartato aminotransferasa (una enzima que indica posibles problemas hepáticos) y paroniquia (infección del lecho de la uña).

Los efectos adversos graves más frecuentes de Koselugo (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son diarrea, anemia (recuento bajo de glóbulos rojos), fiebre, aumento de la creatina fosfocinasa en sangre y aumento de la creatinina en sangre (una indicación de problemas renales).

Koselugo no debe administrarse a pacientes con enfermedad hepática grave.

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Koselugo se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Koselugo en la UE?

Los neurofibromas plexiformes pueden causar desfiguración, dificultades de movimiento, dolor y problemas nerviosos. En pacientes pediátricos con neurofibromas plexiformes que no pueden extirparse mediante cirugía, no hay opciones de tratamiento autorizadas, por lo que existe una importante necesidad médica no cubierta. Koselugo ha demostrado ser eficaz a la hora de reducir el tamaño de los tumores en estos pacientes pediátricos de 3 años en adelante. El número de pacientes pediátricos que participaron en el ensayo fue pequeño debido a la rareza de la enfermedad. Aunque los datos sobre la seguridad fueron limitados, indican que los efectos adversos de Koselugo son controlables. La Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Koselugo son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

A Koselugo se le ha concedido una «autorización condicional». Esta modalidad de aprobación implica que se espera obtener más información sobre este medicamento, que la compañía está obligada a proporcionar. La Agencia revisará anualmente la información nueva que esté disponible y actualizará esta información general cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Koselugo?

Dado que a Koselugo se le ha concedido una autorización condicional, la compañía que lo comercializa proporcionará más información procedente de dos estudios en curso destinados a confirmar los

beneficios y la seguridad de Koselugo en pacientes pediátricos de 3 años en adelante con NF1. La compañía también llevará a cabo un tercer estudio en pacientes pediátricos para proporcionar más información sobre la seguridad a largo plazo del medicamento.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Koselugo?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Koselugo se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Koselugo se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados de Koselugo son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Koselugo

Puede encontrar información adicional sobre Koselugo en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/koselugo.