



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/159423/2023
EMA/H/C/005130

Pedmarqsi (*natriumtiosulfat*)

Sammanfattning av Pedmarqsi och varför det är godkänt inom EU

Vad är Pedmarqsi och vad används det för?

Pedmarqsi är ett läkemedel som ges till barn i åldrar över 1 månad och under 18 år för att minska risken för hörselnedsättning orsakad av cancerläkemedlet cisplatin när detta används för att behandla solida tumörer som inte har spridit sig.

Pedmarqsi innehåller den aktiva substansen natriumtiosulfat.

Hur används Pedmarqsi?

Pedmarqsi är receptbelagt och måste ges i sjukhusmiljö under överinseende av en läkare med lämplig behörighet. Det ges som en infusion (dropp) i en ven under 15 minuter exakt 6 timmar efter att patienten har fått cisplatin.

För mer information om hur du använder detta läkemedel, läs bipacksedeln eller tala med din eller ditt barns läkare alternativt med apotekspersonal.

Hur verkar Pedmarqsi?

Det är inte helt klart hur Pedmarqsi verkar, men den aktiva substansen, natriumtiosulfat, antas binda till och blockera effekten av det cisplatin som inte tagits upp av celler och därmed förhindra cellskador orsakade av en typ av molekyler som kallas "fria syreradikaler". Denna kombinerade verkan förväntas bidra till att skydda mot hörselnedsättning orsakad av cisplatin.

Vilka fördelar med Pedmarqsi har visats i studierna?

I två studier fann man att Pedmarqsi minskade risken för hörselnedsättning hos barn i åldern 1 månad till 18 år som fick cisplatin för behandling av solida tumörer.

I den första studien ingick 114 barn med hepatoblastom (en levercancer), med en genomsnittsålder på cirka 19 månader. Resultaten visade att 35 procent (20 av 57) av barnen som fick Pedmarqsi 6 timmar efter varje dos av cisplatin fick nedsatt hörsel, jämfört med 67 procent (35 av 52) av barnen som bara fick cisplatin.

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



Den andra studien omfattade 125 barn i åldern 1 månad till 18 år med olika typer av cancer, däribland hepatoblastom, neuroblastom (en cancer i omogna nervceller) och tumörer i det centrala nervsystemet. I studien konstaterades en hörselnedsättning hos 29 procent (14 av 49) av barnen som fick Pedmarqsi efter varje cisplatinbehandling, jämfört med 56 procent (31 av 55) av dem som endast fick cisplatin.

Vilka är riskerna med Pedmarqsi?

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

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Pedmarqsi (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är kräkningar, illamående, hypernatremi (höga natriumnivåer i blodet), hypofosfatemi (låga fosfatnivåer i blodet) och hypokalemi (låga kaliumnivåer i blodet).

De vanligaste allvarliga biverkningarna som orsakas av Pedmarqsi (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är överkänslighet (allergiska reaktioner).

Pedmarqsi får inte ges till spädbarn under 1 månads ålder.

Varför är Pedmarqsi godkänt i EU?

Nedsatt hörsel till följd av cisplatinbehandling är ett viktigt kliniskt problem och vid tidpunkten för godkännandet av Pedmarqsi fanns det inga tillgängliga behandlingsalternativ. Pedmarqsi har visat sig förhindra att barn och ungdomar får nedsatt hörsel till följd av cisplatinbehandling mot vissa cancertyper. Dessutom är säkerhetsprofilen för Pedmarqsi jämförbar med den för andra användningar av natriumtiosulfat, och anses godtagbar. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Pedmarqsi är större än riskerna och att Pedmarqsi kan godkännas för försäljning i EU.

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

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

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

Mer information om Pedmarqsi

Mer information om Pedmarqsi finns på EMA:s webbplats:

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