

Medicament nou pentru tratarea gliomelor pediatrice de grad scăzut

27 februarie 2026

Ojemda răspunde nevoilor neacoperite ale pacienților cu vârsta de 6 luni și peste, cu tumori cerebrale pediatrice cu modificări BRAF

<https://www.ema.europa.eu/en/news/new-medicine-treat-paediatric-low-grade-glioma>

EMA a recomandat acordarea unei autorizații de punere pe piață condiționate în Uniunea Europeană (UE) pentru Ojemda (tovorafenib) pentru tratarea pacienților cu vârsta de 6 luni și peste, cu gliom pediatric de grad scăzut (un tip de tumoră cerebrală).

Ojemda poate fi utilizat atunci când tumora prezintă anumite modificări ale genei BRAF (cum ar fi o fuziune BRAF, o rearanjare sau o mutație V600) la pacienții a căror boală s-a agravat în ciuda tratamentului anterior cu unul sau mai multe medicamente sistemice.

Gliomul pediatric de grad scăzut este cea mai frecventă tumoră cerebrală la copii. Deși supraviețuirea este în general ridicată, mulți pacienți prezintă complicații grave pe termen lung care afectează vederea, mișcarea, învățarea și dezvoltarea generală, cu un impact semnificativ asupra calității vieții lor.

Opțiunile de tratament actuale includ chirurgia și chimioterapia. Deși chimioterapia poate fi eficientă pentru unii pacienți, beneficiile sale sunt adesea modeste și poate provoca efecte secundare substanțiale. În plus, terapia țintită este disponibilă numai pacienților ale căror tumori au o mutație BRAF V600E. Cu toate acestea, pentru pacienții a căror boală se agravează după acest tratament, nu există alte opțiuni de tratament. Ojemda este o nouă terapie orală țintită, administrată o dată pe săptămână, pentru un grup mai larg de pacienți cu gliom pediatric de grad scăzut.

Substanța activă din Ojemda, tovorafenibul, acționează prin blocarea proteinelor RAF implicate în creșterea tumorii. Prin țintirea acestor proteine, tovorafenibul ajută la încetinirea sau oprirea semnalelor care determină creșterea și multiplicarea celulelor tumorale cu anumite modificări ale genei BRAF, inclusiv mutații BRAF V600 și fuziuni BRAF.

Recomandarea EMA se bazează pe date dintr-un studiu clinic de fază 2, necontrolat, deschis, care a implicat 77 de pacienți cu gliom pediatric de grad scăzut, a căror tumoră a prezentat modificări ale genei BRAF și a căror boală s-a agravat în ciuda tratamentului anterior cu unul sau mai multe medicamente sistemice. Patruzeci de pacienți (52,6%) nu au obținut un răspuns la un moment dat în timpul tratamentului cu Ojemda administrat o dată pe săptămână, iar răspunsul a durat în medie 18 luni. Niciun pacient nu a obținut un răspuns complet (dispariția tumorii și nicio leziune nouă), 29 nu au obținut un răspuns parțial (scăderea cu cel puțin 50% a dimensiunii tumorii și nicio leziune nouă), iar 11 au obținut un răspuns minor (scăderea cu 25-49% a dimensiunii tumorii și nicio leziune nouă).

Cele mai frecvente reacții adverse raportate în asociere cu Ojemda includ modificări ale culorii părului, creșterea creatinfosfokinazei din sânge (enzimă eliberată în sânge atunci când mușchiul este deteriorat), oboseală, anemie, vărsături, niveluri scăzute de fosfați în sânge, dureri de cap, erupții cutanate, febră, retard de creștere și piele uscată.

Ojemda este recomandat pentru o autorizație de punere pe piață condiționată, unul dintre mecanismele de reglementare ale UE pentru facilitarea accesului timpuriu la medicamente care îndeplinesc o nevoie medicală neacoperită. Acest tip de aprobare permite Agenției să recomande un medicament pentru autorizație de punere pe piață cu date mai puțin complete decât se așteaptă în mod normal, dacă beneficiul disponibilității imediate a unui medicament pentru pacienți depășește riscul inerent faptului că nu toate datele sunt încă disponibile.

Pentru a confirma eficacitatea și siguranța Ojemda, compania s-a angajat să prezinte rezultatele unui studiu randomizat, controlat, de fază 3, aflat în curs de desfășurare.

Avizul adoptat de CHMP este un pas intermediar pe calea Ojemda către accesul pacienților. Avizul va fi trimis acum Comisiei Europene pentru adoptarea unei decizii privind o autorizație de punere pe piață la nivelul UE. Odată ce a fost acordată o autorizație de punere pe piață, deciziile privind prețul și rambursarea vor avea loc la nivelul fiecărui stat membru, ținând cont de rolul sau utilizarea potențială a acestui medicament în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Note:

- Solicitantul pentru Ojemda este Ipsen Pharma.
- Ojemda a fost desemnat ca medicament orfan pentru tratamentul gliomului la 20 mai 2021. În urma acestui aviz pozitiv al CHMP, Comitetul pentru medicamente orfane (COMP) va evalua dacă desemnarea de medicament orfan trebuie menținută.
- Ojemda intră sub incidența Regulamentului UE privind evaluarea tehnologiilor medicale ([EU Health Technology Assessment Regulation](#)). Grupul de coordonare pentru evaluarea tehnologiilor medicale (HTA) al statelor membre va aproba proiectul de evaluare clinică comună pentru acest produs în termen de 30 de zile de la acordarea autorizației de punere pe piață. Evaluarea clinică comună este independentă de evaluarea de către EMA a cererii de autorizație de punere pe piață și este coordonată de Secretariatul HTA din cadrul Comisiei Europene.