

EMA/790608/2017
EMA/H/C/000942

Резюме на EPAR за обществено ползване

Nplate romiplostim

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Nplate. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Nplate.

За практическа информация относно употребата на Nplate, пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Nplate и за какво се използва?

Nplate се прилага при пациенти на възраст 1 година и повече с хронична имунна тромбоцитопенична пурпура (ИТП) — заболяване, при което имунната система на пациента разрушава тромбоцитите (компоненти в кръвта, които помагат за кръвосъсирването). Пациентите с ИТП имат нисък брой на тромбоцити в кръвта и са застрашени от кървене.

Nplate се прилага, когато лечението с лекарства, като кортикостероиди или имуноглобулини не е помогнало. Nplate може да се прилага както при пациенти с премахната слезка, за да се контролира заболяването, така и при пациенти със запазена слезка. Слезката е орган зад стомаха, който участва в отстраняването на тромбоцитите от кръвта.

Тъй като броят на пациентите с ИТП е малък, болестта се счита за „рядка“ и Nplate е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 27 май 2005 г.

Nplate съдържа активното вещество ромиплостим (romiplostim).

Как се използва Nplate?

Nplate се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се провежда под наблюдението на лекар, който има опит в лечението на заболявания на кръвта.

Nplate е прах за приготвяне на инжекционен разтвор. Прилага се веднъж седмично като подкожна инжекция. Началната доза зависи от теглото на пациента и се коригира, за да се поддържа броят на тромбоцитите на желаните нива. Лечението трябва да бъде прекъснато, ако след 4 седмици на лечение с максималната доза Nplate броят на тромбоцитите не се повиши достатъчно, за да се намали риска от кървене. Възрастни, чиито нива на тромбоцитите са стабилни, могат да инжектират лекарството сами, след като получат подходящо обучение.

За повече информация вижте листовката.

Как действа Nplate?

Активното вещество в Nplate, ромиплостим, стимулира производството на тромбоцити. В организма, хормон, наречен „тромбопоетин“, стимулира производството на тромбоцити в костния мозък. Ромиплостим е предназначен да се свързва и да стимулира същите цели (рецептори), както тромбопоетин. Като имитира действието на тромбопоетин, ромиплостим стимулира производството на тромбоцити, като по този начин повишава техния брой в кръвта и намалява риска от кървене.

Какви ползи от Nplate са установени в проучванията?

В две основни проучвания при възрастни и трето при деца е установено, че Nplate е ефективен за лечението на хронична ИТП. Проучванията сравняват Nplate с плацебо (сляпо лечение). Пациентите са лекувани в продължение на 24 седмици и основната мярка за ефективност е увеличаването на броя на тромбоцитите над праговото ниво от 50 милиона тромбоцити на милилитър кръв най-малко през 6 от последните 8 седмици от лечението. Брой на тромбоцитите под 30 милиона на милилитър поставя пациентите в риск от кървене, докато нормалното ниво е 150 до 400 милиона на милилитър.

Първото проучване обхваща 63 пациенти, чието заболяване не е контролирано въпреки премахването на слезката. При 38 % от пациентите, получаващи Nplate (16 от 42), броят на тромбоцитите се е повишил над праговото ниво, в сравнение с нито един от 21 пациенти, получаващи плацебо.

Второто проучване обхваща 62 пациенти, които са лекувани преди това за ИТП (но на които не е премахната слезката). При 61 % от пациентите, получаващи Nplate (25 от 41), броят на тромбоцитите се е повишил над праговото ниво в сравнение с 5 % от пациентите, получаващи плацебо (1 от 21).

В проучването при деца са включени 62 пациенти на възраст от 1 до под 18 години, които преди това са лекувани за ИТП (включително някои, на които е премахната слезката). При 52 % от пациентите, които са получаващи Nplate (22 от 42), броят на тромбоцитите се е повишил над праговото ниво в сравнение с 10 % от пациентите, получаващи плацебо (2 от 20).

Дългосрочните проучвания, включващи над 1000 пациенти, някои лекувани в продължение на повече от 5 години, потвърждават, че Nplate остава ефективен както при пациенти, на които е премахната слезката, така и при тези с интактна слезка.

Какви са рисковете, свързани с Nplate?

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Nplate при възрастни (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) включват главоболие, инфекции на носа и гърлото и алергични реакции (свръхчувствителност), като обрив, сърбеж и бързо подуване под кожата. Най-честите нежелани

лекарствени реакции при деца включват инфекции на носа и гърлото, хрема, кашлица, треска, болка в устата и гърлото, абдоминална (коремна) болка, диария, обрив и синини. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Nplate, вижте листовката.

Nplate не трябва да се прилага при хора, които са свръхчувствителни (алергични) към ромиплостим, към някоя от останалите съставки или към протеините, произвеждани от *Escherichia coli* (вид бактерия).

Защо Nplate е разрешен за употреба?

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от Nplate са по-големи от рисковете и препоръча на Nplate да се издаде разрешение за употреба.

Агенцията отбеляза, че ефективността на Nplate е показана при пациенти с отстранена слезка, както и при пациенти, на които тя не е премахната. Подобреното в броя на тромбоцитите е дългосрочно и клинично значимо и в двете групи, въпреки че лечението само контролира симптомите, без да настъпва излекуване. Поради това при пациенти с интактна слезка трябва периодично да се оценява възможността за отстраняване на слезката.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Nplate?

Фирмата, която предлага Nplate, ще предостави на лекарите „калкулатор на дозата“, за да им помогне да изчисляват понякога много малките количества Nplate, които трябва да бъдат инжектирани. На лекарите може още да се предостави и обучителен пакет за домашно прилагане, съдържащ материали за обучаване на пациентите, които ще си инжектират Nplate, и материали за пациентите как да приготвят лекарството за инжектиране.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Nplate, които да се спазват от здравните специалисти и пациентите, са включени и в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Допълнителна информация за Nplate

На 4 февруари 2009 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Nplate, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Nplate може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. За повече информация относно лечението с Nplate прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Nplate може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Дата на последно актуализиране на текста 12-2017.