

EMA/762197/2010
EMA/H/C/000689

Резюме на EPAR за обществено ползване

Siklos hydroxycarbamide

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Siklos. В него се разяснява как Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) е оценил лекарството, за да даде положително становище за разрешаване за употреба и препоръки за условията на употреба на Siklos.

Какво представлява Siklos?

Siklos е лекарство, което съдържа активното вещество хидроксикарбамид (*hydroxycarbamide*). Предлага се под формата на таблетки (100 и 1000 mg). Таблетката от 1000 mg има специални разделителни линии, така че може да бъде лесно разделена на четири равни части.

За какво се използва Siklos?

Siklos се използва при възрастни, юноши и деца на възраст над две години със синдром на сърповидно-клетъчна анемия – генетично заболяване, при което червените кръвни клетки стават лепливи и по-малко гъвкави, а от кръгла формата им става сърповидна. Показан е за профилактика на рецидивиращи, болезнени, вазо-оклузивни кризи, които настъпват, когато кръвоносните съдове са блокирани от увредените червени кръвни клетки, което ограничава кръвния поток към даден орган. Кризите могат да включват остър гръден синдром – животозастрашаващо състояние, при което пациентът получава внезапна гръдна болка, повишена температура, затруднено дишане или признаци на наличие на течност в белите дробове при рентгенография.

Тъй като броят на пациентите със синдром на сърповидноклетъчна анемия е малък, болестта се счита за „рядка“ и Siklos е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 9 юли 2003 г.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

Как се използва Siklos?

Лечението със Siklos трябва да бъде започнато от лекар с опит в овладяването на проявите на синдрома на сърповидно-клетъчна анемия.

Siklos се приема веднъж дневно, за предпочитане сутрин преди закуска. Началната доза обикновено е 15 mg/kg телесно тегло, като за изготвянето ѝ се използват таблетките с най-подходящи концентрации (100 или 1000 mg), а при необходимост таблетките от 1000 mg се разделят на четири части (по 250 mg). Дозата се коригира в зависимост от повлияването от лечението, като обичайната доза е между 15 и 30 mg на килограм телесно тегло на ден. В изключителни случаи могат да се използват дози до 35 mg на килограм телесно тегло на ден, при условие че кръвта на пациента се следи за нежелани лекарствени реакции. При пациенти, които не се повлияват от тази доза или които получават нежелани лекарствени реакции, лечението трябва да бъде спряно или отложено. При пациенти с леки или умерени бъбречни увреждания може да се наложи намаляване на дозата. За повече информация вижте листовката.

Как действа Siklos?

Активното вещество в Siklos, хидроксикарбамид, потиска растежа и възпроизводството на някои клетки, например кръвните клетки. Въпреки че не е известно как точно действа при тази болест, хидроксикарбамидът може да намали броя на клетките, които циркулират в кръвта, а също да предотврати промяната на формата на червените кръвни клетки при пациенти със синдром на сърповидно-клетъчна анемия. Това намалява опасността от запушване на кръвоносните съдове.

Хидроксикарбамид, в миналото известен като хидроксиурея, се предлага в Европейския съюз (ЕС) от няколко десетилетия за употреба при други заболявания, включително някои видове рак.

Как е проучен Siklos?

Тъй като хидроксикарбамид е добре познато вещество, което вече се използва в други лекарства, фирмата е използвала данни от научната литература, за да подкрепи употребата на Siklos при възрастни и деца със синдром на сърповидно-клетъчна анемия. По-конкретно тя представя данни за ефективността на Siklos от 11 публикувани проучвания, включващи 378 деца, и от три национални регистра с информация за 155 деца със сърповидно-клетъчен синдром, които са лекувани със Siklos за период до седем години. Освен това фирмата представя сведения от едно проучване при 299 пациенти, в което ефектите на Siklos са сравнени с ефектите от плацебо (сляпо проучване), както и с резултатите от други проучвания, обхващащи 430 възрастни, и с национален регистър с информация за 123 пациенти, лекувани със Siklos. Проучванията сравняват броя на вазо-оклузивните кризи преди и след лечението със Siklos под формата на всички болезнени епизоди, засягащи ръцете, краката, корема, гърба или гръдния кош.

Какви ползи от Siklos са установени в проучванията?

Пациентите, лекувани със Siklos, имат по-малко вазо-оклузивни кризи след лечението със Siklos, отколкото преди лечението, като честотата намалява с 66 до 80% при деца и възрастни. Броят на случаите със остър гръден синдром също намалява с 25 до 33%. Освен това има също по-малко хоспитализации и по-малко дни, прекарани в болница. Ефектите продължават до седем години. В проучването, сравняващо Siklos с плацебо при възрастни, са отбелязани по-малко вазо-оклузивни кризи при пациентите, приемащи Siklos (2,5 кризи на година), отколкото при пациентите, приемащи плацебо (4,5 кризи на година).

Какви са рисковете, свързани със Siklos?

Най-честата нежелана лекарствена реакция при Siklos (наблюдавана при повече от един на 10 пациенти) е потискане на костния мозък, водещо до неутропения (ниски нива на неутрофилите, вид бели кръвни клетки), ретикулоцитопения (ниски нива на ретикулоцитите, вид незрели червени кръвни клетки) и макроцитоза (уголемяване на червените кръвни клетки). На пациентите, които приемат Siklos, трябва да се правят изследвания на кръвта преди и редовно по време на лечението, за да се проверява кръвната картина, както и за да се следят бъбреците и черния дроб. Кръвната картина обичайно се връща в нормата до две седмици след спирането на Siklos. При мъже, лекувани със Siklos, често се наблюдава обратима олигоспермия или азооспермия (намалено или липсващо производство на здрава сперма). За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Siklos, вижте листовката.

Siklos не трябва да се прилага при хора с увреждания на бъбреците или черния дроб или които имат опасно нисък брой на кръвните клетки. По време на приема на Siklos кърменето трябва да се спре. За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

Защо Siklos е разрешен за употреба?

CHMP реши, че ползите от Siklos са по-големи от рисковете, и препоръча да се издаде разрешение за употреба.

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

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Siklos се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасност е включена в кратката характеристика на продукта и листовката за Siklos, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите. Фирмата, която произвежда Siklos, ще предостави също информационни пакети за лекарите и за пациентите, съдържащи информация за безопасността на лекарството.

Допълнителна информация за Siklos:

На 29 юни 2007 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Siklos, валидно в Европейския съюз.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Siklos може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Пълният текст на EPAR за Siklos може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. За повече информация относно лечението със Siklos прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Дата на последно актуализиране на текста 03-2014.