



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19. června 2025
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Výsledek posouzení použití přípravku Revolade k léčbě těžké aplastické anémie u dětí

Evropská agentura pro léčivé přípravky dokončila posouzení žádosti o rozšíření použití přípravku Revolade na děti s těžkou aplastickou anémií. Ačkoli agentura EMA toto použití nedoporučila, souhlasila s tím, aby do informací o přípravku pro tento léčivý přípravek byly zahrnuty příslušné údaje ze studie předložené souběžně s žádostí, aby tak zdravotničtí pracovníci měli přístup k aktuálním údajům o účincích přípravku Revolade u osob s těžkou aplastickou anémií.

Co je přípravek Revolade a k čemu se používá?

Revolade je léčivý přípravek, který se používá k léčbě těchto onemocnění:

- primární imunitní trombocytopenie, což je onemocnění, při kterém imunitní systém pacienta ničí krevní destičky (složky krve, které napomáhají jejímu srážení). Pacienti s primární imunitní trombocytopenií mají nízký počet krevních destiček v krvi (trombocytopenii) a jsou vystaveni riziku krvácení. Přípravek Revolade se používá u pacientů ve věku od 1 roku, u nichž nebyla léčba léčivými přípravky, jako jsou kortikosteroidy nebo imunoglobuliny, účinná. U dětí a dospívajících se přípravek používá v případě, že uvedeným onemocněním trpí alespoň 6 měsíců,
- trombocytopenie u dospělých s chronickou (dlouhodobou) hepatitidou C, což je onemocnění jater způsobené virem hepatitidy C. Přípravek Revolade se používá v případě, že je trombocytopenie příliš těžká na to, aby bylo možné použít léčbu založenou na interferonu (určitý typ léčby hepatitidy C),
- získaná těžká aplastická anémie (onemocnění, při kterém kostní dřeň nevytváří dostatek krvinek nebo krevních destiček). Získaným onemocněním se rozumí onemocnění, které není dědičné. Přípravek Revolade se používá u dospělých, jejichž onemocnění se nepodařilo zvládnout imunosupresivní léčbou (léčivými přípravky, které oslabují přirozenou obranyschopnost těla) a kteří nemohou podstoupit transplantaci hematopoetických kmenových buněk (při níž je kostní dřeň pacienta nahrazena kmenovými buňkami dárce za účelem vytvoření nové kostní dřeně).

Přípravek Revolade je v EU registrován od března 2010. Obsahuje léčivou látku eltrombopag a je k dispozici ve formě tablet a prášku pro přípravu suspenze (tekutiny) k užití ústy.

Další informace o stávajících použitích přípravku Revolade naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

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



O jakou změnu společnost žádala?

Společnost žádala o rozšíření použití přípravku Revolade na děti ve věku od 2 let s těžkou aplastickou anémií, jejichž onemocnění se nepodařilo zvládnout imunosupresivní léčbou nebo se po ní vrátilo a které nemohou podstoupit transplantaci hematopoetických kmenových buněk.

Jak přípravek Revolade působí?

V lidském těle stimuluje tvorbu krevních destiček přirozený hormon zvaný trombopoetin, a to tak, že se naváže na určité receptory (cíle) v kostní dřeni a aktivuje je. Léčivá látka v přípravku Revolade, eltrombopag, se stejně jako trombopoetin váže na trombopoetické receptory a stimuluje je. To zvyšuje tvorbu krevních destiček a jejich počet a snižuje riziko krvácení. U některých pacientů s těžkou aplastickou anémií může přípravek Revolade rovněž zvýšit tvorbu krvinek. Očekává se, že u dětí ve věku od 2 let s těžkou aplastickou anémií bude přípravek Revolade působit stejným způsobem jako u dospělých s tímto onemocněním.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky probíhající hlavní studie, do které bylo zařazeno 51 dětí ve věku od 2 let s těžkou aplastickou anémií, které nemohly podstoupit transplantaci hematopoetických kmenových buněk. V této studii 37 dětí nepodstoupilo předchozí léčbu a 14 dětí podstoupilo imunosupresivní léčbu, jejich onemocnění se však nepodařilo zvládnout nebo se vrátilo. Všem dětem byl přípravek Revolade podáván v kombinaci s imunosupresivní léčbou po dobu 26 týdnů. Přípravek nebyl porovnáván s žádnou jinou léčbou ani s placebem (neúčinným přípravkem). Hlavním cílem studie bylo posoudit, jak se přípravek Revolade chová u dětí. Dalším cílem bylo posouzení bezpečnosti a účinnosti přípravku.

Jaké byly závěry agentury EMA?

Agentura EMA konstatovala, že ačkoli z výsledků studie předložené žadatelem vyplývá, že u dětí s těžkou aplastickou anémií by léčba přípravkem Revolade mohla být přínosná, pouze 14 pacientů ve studii splňovalo kritéria zamýšleného použití. Tento počet byl považován za příliš malý na to, aby bylo možné vyvodit jednoznačné závěry o účinnosti a bezpečnosti přípravku Revolade u dětí s tímto onemocněním.

Agentura EMA proto dospěla k závěru, že bezpečnost a účinnost přípravku Revolade nebyla u dětí s těžkou aplastickou anémií dostatečně prokázána a že by pro použití u těchto pacientů neměl být registrován. Informace o předepisování přípravku Revolade však budou aktualizovány tak, aby zahrnovaly příslušné údaje a zdravotníci pracovníci tak měli přístup k aktuálním údajům o účincích přípravku Revolade u dětí s těžkou aplastickou anémií.

Jaké to má důsledky pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Revolade podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu, že studie přípravku Revolade u dětí s těžkou aplastickou anémií byla nedávno dokončena a že u těchto dětí neprobíhají žádné další studie.