



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Nplate

romiplostim

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Nplate. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Nplate používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Nplate, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Nplate a k čemu se používá?

Přípravek Nplate se používá u pacientů ve věku od 1 roku s dlouhodobou imunitní trombocytopenickou purpurou (ITP), což je onemocnění, při kterém pacientův imunitní systém ničí krevní destičky (složky krve, které napomáhají jejímu srážení). Pacienti s ITP mají nízký počet krevních destiček a jsou vystaveni riziku krvácení.

Přípravek Nplate se používá, pokud neúčinkovala léčba léčivými přípravky jako kortikosteroidy nebo imunoglobuliny. Přípravek Nplate lze použít u pacientů, kterým byla odstraněna slezina za účelem kontroly onemocnění, a rovněž u těch, kteří dosud slezinu mají. Slezina, což je orgán za žaludkem, se podílí na odstraňování krevních destiček z krve.

Jelikož počet pacientů s ITP je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Nplate byl dne 27. května 2005 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Nplate obsahuje léčivou látku romiplostim.

Jak se přípravek Nplate používá?

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis a na léčbu by měl dohlížet lékař, který má zkušenosti s léčbou onemocnění krve.



Přípravek Nplate je prášek pro přípravu injekčního roztoku. Podává se jednou týdně ve formě injekce pod kůži. Počáteční dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta a následně je upravena tak, aby byla udržována cílová hodnota počtu krevních destiček. Pokud po 4 týdnech léčby maximální dávkou přípravku Nplate nedojde k dostatečnému zvýšení počtu krevních destiček tak, aby se snížilo riziko krvácení, je třeba léčbu ukončit. Dospělí, u kterých je hladina krevních destiček stabilní, si mohou léčivý přípravek po řádném proškolení injekčně podávat sami.

Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

Jak přípravek Nplate působí?

Léčivá látka v přípravku Nplate, romiplostim, podporuje tvorbu krevních destiček. V lidském těle za normálních okolností stimuluje tvorbu krevních destiček v kostní dřeni hormon zvaný trombopoetin. Romiplostim byl navržen tak, aby se navázal na stejné cíle (receptory) a stimuloval je stejně jako trombopoetin. Napodobováním účinku trombopoetinu podporuje romiplostim tvorbu krevních destiček, a tím zvyšuje jejich počet a zmírňuje riziko krvácení.

Jaké přínosy přípravku Nplate byly prokázány v průběhu studií?

Dvě hlavní studie u dospělých a třetí u dětí zjistily, že přípravek Nplate je účinný v léčbě dlouhodobé ITP. Ve všech studiích byl přípravek Nplate porovnáván s placebem (léčbou neúčinným přípravkem). Pacienti byli léčeni po dobu 24 týdnů a hlavním měřítkem účinnosti bylo zvýšení počtu krevních destiček nad prahovou hodnotu 50 milionů krevních destiček na mililitr krve po dobu nejméně 6 z posledních 8 týdnů léčby. Počet krevních destiček ve výši pod 30 milionů na mililitr vystavuje pacienty riziku krvácení, přičemž normální počet krevních destiček je 150 až 400 milionů na mililitr.

První studie zahrnovala 63 pacientů, jejichž onemocnění nebylo kontrolováno navzdory tomu, že jim byla odstraněna slezina. Počet krevních destiček vzrostl nad prahovou hodnotu u 38 % (16 z 42) pacientů, kteří užívali přípravek Nplate, ve srovnání s žádným z 21 pacientů, kteří dostávali placebo.

Druhá studie zahrnovala 62 pacientů, jejichž ITP byla v minulosti léčena (ale kterým nebyla odstraněna slezina). Počet krevních destiček vzrostl nad prahovou hodnotu u 61 % (25 z 41) pacientů, kteří užívali přípravek Nplate, a u 5 % (1 z 21) pacientů užívajících placebo.

Studie u dětí zahrnovala 62 pacientů ve věku od 1 roku do 18 let, jejichž ITP byla v minulosti léčena (včetně několika, kterým byla odstraněna slezina). Počet krevních destiček vzrostl nad prahovou hodnotu u 52 % (22 z 42) pacientů, kteří užívali přípravek Nplate, a u 10 % (2 z 20) pacientů užívajících placebo.

Dlouhodobé studie zahrnující více než 1 000 pacientů, z nichž někteří byli léčeni po dobu delší než 5 let, potvrdily, že přípravek Nplate zůstává účinný jak u pacientů, jimž byla odstraněna slezina, tak i u pacientů, u kterých slezina odstraněna nebyla.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Nplate?

Mezi nejčastější nežádoucí účinky přípravku Nplate u dospělých (pozorované u více než 1 pacienta z 10) patří bolest hlavy, infekce nosu a hrdla a alergické reakce (přecitlivělost), jako je vyrážka, svědění a náhlý otok pod kůží. Mezi nejčastější nežádoucí účinky u dětí patří infekce nosu a hrdla, rýma, kašel, horečka, bolest v ústech a hrdle, bolest břicha, průjem, vyrážka a modřiny. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Nplate je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Nplate nesmějí užívat osoby s přecitlivělostí (alergií) na romiplostim, na kteroukoli další složku tohoto přípravku nebo na bílkoviny produkované bakterií Escherichia coli.

Na základě čeho byl přípravek Nplate schválen?

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Nplate převyšují jeho rizika, a proto doporučila, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Agentura konstatovala, že přípravek Nplate byl účinný u pacientů, kterým byla odstraněna slezina, a rovněž u pacientů, u nichž k odstranění sleziny nedošlo. Zlepšení počtu krevních destiček bylo dlouhodobé a klinicky relevantní v obou skupinách, přestože léčba pouze kontroluje příznaky a onemocnění neléčí. Proto by u pacientů s intaktní slezinou měla být pravidelně hodnocena možnost jejího odstranění.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Nplate?

Společnost, která přípravek Nplate dodává na trh, poskytne lékařům tzv. kalkulátor dávky, který jim pomůže vypočítat potřebné množství přípravku Nplate k injekčnímu podání, přičemž někdy se jedná o velmi malé objemy. Lékařům může být rovněž poskytnuta sada školicích materiálů pro podávání přípravku v domácím prostředí, která obsahuje materiály s pokyny, jak školit pacienty, kteří si budou přípravek Nplate injekčně podávat sami, a materiály pro pacienty s návodem na přípravu injekce tohoto léčivého přípravku.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Nplate, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Nplate

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Nplate platné v celé Evropské unii dne 4. února 2009.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Nplate je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Nplate naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Nplate vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 12-2017.