

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Siklos

hydroxycarbamidum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Siklos. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek používání přípravku Siklos.

Co je Siklos?

Siklos je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku hydroxykarbamid. Je dostupný ve formě tablet (100 mg a 1 000 mg). 1 000mg tableta má speciální půlicí rýhy pro snadné rozdělení na čtyři stejné části.

K čemu se přípravek Siklos používá?

Přípravek Siklos se používá u dospělých, dospívajících a dětí ve věku od dvou let s tzv. srpkovitou anémií, což je dědičné onemocnění, při němž červené krvinky tuhnou a ztrácejí schopnost se „lepit“ a měnit tvar z diskovitěho na půlkruhový (srpkovitý). Používá se k prevenci opakujících se bolestivých vazookluzivních krizí, ke kterým dochází v případě, kdy se krevní céva ucpe abnormálními červenými krvinkami, jež omezují průtok krve do příslušného orgánu. Tyto krize mohou zahrnovat akutní hrudní syndrom, což je život ohrožující stav, kdy pacienta náhle začne bolet na hrudi, dostane horečku, těžko se mu dýchá nebo na rentgenu jeví známky přítomnosti tekutiny v plicích.

Jelikož počet pacientů se srpkovitou anémií je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Siklos byl dne 9. července 2003 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Jak se přípravek Siklos používá?

Léčba přípravkem Siklos by měla být zahájena lékařem, který má zkušenosti s léčbou srpkovité anémie.

Přípravek Siklos se užívá jednou denně, nejlépe ráno před snídaní. Počáteční dávka činí obvykle 15 mg na kilogram tělesné hmotnosti. K dosažení požadované dávky se používají nejvhodnější tablety o různé síle (100 mg nebo 1 000 mg), 1 000mg tablety mohou být v případě potřeby rozlomeny na čtvrtiny (250 mg). Dávka se upravuje dle pacientovy reakce na léčbu, přičemž obvyklá denní dávka činí 15 až 30 mg na kilogram tělesné hmotnosti. Ve výjimečných případech lze použít dávku až 35 mg na kilogram tělesné hmotnosti denně, pokud je pacientovi sledována krev, zda se nevyskytují nežádoucí účinky. U pacientů, kteří na tuto dávku nereagují, nebo se u nich vyskytnou nežádoucí účinky, může být nutné léčbu ukončit či dočasně pozastavit. Dávku přípravku Siklos může být nutné snížit u pacientů, kteří mají mírné nebo středně závažné onemocnění ledvin. Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

Jak přípravek Siklos působí?

Léčivá látka v přípravku Siklos, hydroxykarbamid, brání růstu a množení některých buněk, například krvinek. Ačkoli přesný způsob účinku této látky u uvedeného onemocnění není znám, hydroxykarbamid snižuje počet buněk, které kolují v krvi, a u pacientů se srpkovitou anémií zabraňuje červeným krvinkám ve změně tvaru. Tím omezuje riziko ucpání krevních cév.

Hydroxykarbamid, dříve známý jako hydroxyurea, je v rámci Evropské unie (EU) dostupný již několik desetiletí, a to k léčbě jiných onemocnění, včetně některých typů rakoviny.

Jak byl přípravek Siklos zkoumán?

Jelikož hydroxykarbamid představuje dobře známou látku, která se používá v jiných léčivých přípravcích, společnost na podporu použití přípravku Siklos u dospělých a dětí se srpkovitou anémií použila údaje z vědecké literatury. Předložila zejména důkazy o účinnosti přípravku Siklos, a to z 11 publikovaných studií zahrnujících 378 dětí a ze tří národních registrů informací o 155 dětech se srpkovitou anémií, jež byly léčeny přípravkem Siklos po dobu až sedmi let. Společnost také předložila důkazy ze studie provedené na 299 dospělých pacientech, ve které byla účinnost přípravku Siklos porovnávána s placebem (léčbou neúčinným přípravkem), výsledky dalších studií zahrnujících 430 dospělých a dále údaje o 123 dospělých léčených přípravkem Siklos z jednoho národního registru informací. Studie porovnávaly počet vazookluzivních krizí před zahájením léčby přípravkem Siklos a po něm, přičemž vazookluzivní krize byla definována jako jakákoli bolestivá epizoda týkající se horních končetin, dolních končetin, břicha, zad nebo hrudi.

Jaký přínos přípravku Siklos byl prokázán v průběhu studií?

Pacienti vykazovali při léčbě přípravkem Siklos méně vazookluzivních krizí než před jejím zahájením, přičemž frekvence krizí u dětí a dospělých poklesla o 66–80 %. Počet případů akutního hrudního syndromu také poklesl, a to o 25 až 33 %. Pacienti byli též méně hospitalizováni a strávili v nemocnici menší počet dnů. Účinky přetrvaly po dobu až sedmi let. Ve studii, která srovnávala přípravek Siklos s placebem u dospělých, bylo u pacientů užívajících přípravek Siklos zaznamenáno méně vazookluzivních krizí (2,5 krize za rok) než u pacientů užívajících placebo (4,5 krize za rok).

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Siklos?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Siklos (zaznamenanými u více než 1 pacienta z 10) jsou úbytek kostní dřeně, jenž způsobuje neutropenii (nízké hladiny neutrofilů, což je druh bílých krvinek),

retikulocytopenie (nízké hladiny retikulocytů, což je druh nedozrálých červených krvinek) a makrocytóza (zvětšení červených krvinek). Pacientům užívajícím přípravek Siklos by měly být jak před zahájením léčby, tak pravidelně v jejím průběhu prováděny krevní testy, a to za účelem zjištění počtu krvinek a sledování funkcí ledvin a jater. Počet krvinek se obvykle navrácí do normálu do dvou týdnů od ukončení léčby přípravkem Siklos. U mužů léčených přípravkem Siklos je také velmi často zaznamenána reverzibilní oligospermie nebo azospermie (snížená nebo chybějící produkce zdravých spermií). Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Siklos je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Siklos nesmí být používán u osob se závažnými ledvinovými anebo jaterními problémy a u osob s nebezpečně nízkými počty krvinek. V průběhu užívání přípravku Siklos musí být ukončeno kojení. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Siklos schválen?

Výbor CHMP rozhodl, že přínosy přípravku Siklos převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

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

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku Siklos byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Siklos zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci i pacienti. Výrobce přípravku Siklos poskytne také informační balíčky obsahující údaje o bezpečnosti přípravku, a to pro lékaře i pacienty.

Další informace o přípravku Siklos

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Siklos platné v celé Evropské unii dne 29. června 2007.

Shrnutí stanoviska k přípravku Siklos 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_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Siklos 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_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Další informace o léčbě přípravkem Siklos naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 03-2014.