



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resultat af vurderingen af anvendelsen af Revolade til behandling af svær aplastisk anæmi hos børn

Det Europæiske Lægemiddelagentur har afsluttet sin vurdering af en ansøgning om at udvide anvendelsen af Revolade til at omfatte børn med svær aplastisk anæmi (SAA). EMA anbefalede ikke denne anvendelse, men var indeforstået med, at relevante data fra det studie, der blev indsendt sammen med ansøgningen, skulle medtages i lægemidlets produktinformation, således at sundhedspersoner har adgang til ajourførte data om virkningerne af Revolade hos personer med svær aplastisk anæmi.

Hvad er Revolade, og hvad anvendes det til?

Revolade er et lægemiddel til behandling af:

- primær immun trombocytopeni (ITP) – en sygdom, hvor patientens immunforsvar ødelægger blodplader (bestanddele i blodet, der er vigtige for blodets evne til at størkne) Patienter med ITP har lave blodpladetal (trombocytopeni) og har risiko for blødning. Revolade anvendes til patienter på 1 år og derofter, hos hvem behandling med lægemidler såsom kortikosteroider eller immunoglobuliner ikke har virket. Hos børn og unge anvendes lægemidlet, når de har haft sygdommen i mindst 6 måneder
- trombocytopeni hos voksne med kronisk (langvarig) hepatitis C – en leversygdom, der forårsages af hepatitis C-viruset. Revolade anvendes, når trombocytopenien er for alvorlig til, at interferonbaseret behandling (en type behandling for hepatitis C) kan anvendes
- erhvervet svær aplastisk anæmi (en sygdom, hvor knoglemarven ikke producerer nok blodceller eller blodplader). Erhvervet betyder, at sygdommen ikke er arvelig. Revolade anvendes til patienter, hvis sygdom ikke kan reguleres med immunsuppressive lægemidler (lægemidler, der mindsker kroppens immunforsvar), og som ikke kan gennemgå hæmatopoietisk stamcelletransplantation (hvor patientens knoglemarv erstattes af stamceller fra en donor med henblik på dannelse af ny knoglemarv).

Revolade har været godkendt i EU siden marts 2010. Det indeholder det aktive stof eltrombopag og fås som tabletter og som pulver til fremstilling af en suspension (en væske), der indtages gennem munden.

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



Yderligere information om de nuværende anvendelser af Revolade findes på agenturets websted: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

Hvilken ændring havde virksomheden ansøgt om?

Virksomheden ansøgte om at udvide anvendelsen af Revolade til at omfatte børn på 2 år og derover med svær aplastisk anæmi, hvis sygdom ikke kan kontrolleres med eller er vendt tilbage efter immunsuppressiv behandling, og som ikke kan gennemgå hæmatopoietisk stamcelletransplantation.

Hvordan virker Revolade?

I kroppen stimulerer et naturligt hormon kaldet thrombopoietin produktionen af blodplader ved at binde sig til og aktivere visse receptorer (mål) i knoglemarven. Ligesom trombopoietin binder det aktive stof i Revolade, eltrombopag, sig også til og stimulerer trombopoietinreceptorer. Dette øger produktionen af blodplader, forbedrer antallet af trombocytter og mindsker risikoen for blødning. Hos nogle patienter med svær aplastisk anæmi kan Revolade også øge produktionen af blodceller. Hos børn på 2 år og derover med svær aplastisk anæmi forventes Revolade at virke på samme måde som hos voksne med denne sygdom.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultater fra et igangværende hovedstudie, der omfattede 51 børn på 2 år og derover med svær aplastisk anæmi, som ikke kunne gennemgå hæmatopoietisk stamcelletransplantation. I dette studie havde 37 børn ikke fået forudgående behandling, og 14 havde fået immunsuppressiv behandling, men deres sygdom kunne ikke kontrolleres eller var vendt tilbage. Alle børn fik Revolade i kombination med immunsuppressiv behandling i 26 uger. Lægemidlet blev ikke sammenlignet med nogen anden behandling eller placebo (en uvirksom behandling). Hovedformålet med studiet var at vurdere, hvordan Revolade virker hos børn. De sekundære formål var vurdering af lægemidlets sikkerhed og virkning.

Hvad var EMA's konklusioner?

EMA bemærkede, at selv om resultaterne af det studie, ansøgeren havde fremlagt, tyder på, at børn med svær aplastisk anæmi kunne have gavn af behandling med Revolade, svarede kun 14 patienter i studiet til den tilsigtede anvendelse. Dette antal blev anset for at være for lille til, at der kunne drages endelige konklusioner om Revolades virkning og sikkerhed ved anvendelse hos disse børn.

EMA konkluderede derfor, at Revolades sikkerhed og virkning ikke er tilstrækkeligt dokumenteret hos børn med svær aplastisk anæmi, og at det ikke bør godkendes hos disse patienter. Ordineringsoplysningerne for Revolade vil dog blive opdateret med relevante data, således at sundhedspersoner har adgang til ajourførte data om virkningerne af Revolade hos børn med svær aplastisk anæmi.

Hvilke konsekvenser har udfaldet for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden meddelte agenturet, at studiet af Revolade hos børn med svær aplastisk anæmi er blevet afsluttet for nylig, og at der ikke er andre studier i gang hos disse børn.