



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/121180/2023
EMA/H/C/004722

Doptelet (*avatrombopag*)

En oversigt over Doptelet, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Doptelet, og hvad anvendes det til?

Doptelet er et lægemiddel, der anvendes til behandling af:

- svær trombocytopeni (lavt antal blodplader, som kan medføre blødning) på grund af langvarig leversygdom hos voksne, som skal have foretaget et invasivt indgreb (en medicinsk procedure, hvor der ved snit eller stik trænges igennem huden, eller der indføres instrumenter i kroppen med risiko for blødning)
- voksne med kronisk primær immun trombocytopeni (ITP), en sygdom, hvor patientens immunforsvar ødelægger blodpladerne. Det anvendes, når andre behandlinger (såsom kortikosteroider eller immunoglobuliner) ikke har virket.

Doptelet indeholder det aktive stof avatrombopag.

Hvordan anvendes Doptelet?

Doptelet fås kun på recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af blodsygdomme. Doptelet fås som tabletter.

Hos patienter med svær trombocytopeni på grund af langvarig leversygdom, og som skal have foretaget et invasivt indgreb, gives Doptelet én gang dagligt i 5 dage, og behandlingen bør indledes 10-13 dage før indgrebet. Det er nødvendigt med en blodprøve på dagen for indgrebet for at sikre, at blodpladetallet er tilstrækkeligt og ikke uventet højt.

For patienter med kronisk primær ITP afhænger dosis af Doptelet, og hvor ofte det bør tages, af blodpladetallet under behandlingen. Blodpladetallet skal kontrolleres regelmæssigt for at sikre, at det ikke er for lavt eller for højt, og for om nødvendigt at justere dosen af Doptelet. Behandlingen bør stoppes, hvis blodpladetallet ikke er steget tilstrækkeligt efter 4 ugers behandling ved den højeste dosis, eller hvis det ligger for højt efter 2 ugers behandling ved den laveste dosis.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Doptelet, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.



Hvordan virker Doptelet?

Et hormon i kroppen, der hedder trombopoietin, stimulerer produktionen af blodplader ved at binde sig til bestemte receptorer (modtagere) i knoglemarven. Det aktive stof i Doptelet, avatrombopag, binder sig til de samme receptorer som trombopoietin og bidrager dermed til at øge blodpladetallet.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Doptelet?

To hovedstudier, der omfattede 435 patienter med lavt antal blodplader på grund af mangeårig leversygdom, viste, at Doptelet var effektivt til at øge antallet af blodplader før et invasivt indgreb. Virkningen blev hovedsagelig målt på antallet af patienter, der ikke krævede en transfusion af blodplader eller anden behandling ("redningsprocedure") for at forhindre kraftig blødning efter påbegyndelse af Doptelet-behandlingen og i op til 7 dage efter det invasive indgreb.

I disse studier havde 88 % af de patienter, der fik Doptelet dagligt, ikke brug for en transfusion eller en redningsprocedure, sammenlignet med 36 % af de patienter, der fik placebo (en uvirksom behandling). Blandt patienterne med mere alvorlig trombocytopeni havde 67 % af de patienter, der fik Doptelet dagligt, ikke brug for en transfusion eller en redningsprocedure, sammenlignet med 29 % af dem, der fik placebo.

I et andet studie, som omfattede 49 voksne med kronisk ITP, blev behandling med Doptelet sammenlignet med placebo. Patienterne blev behandlet i 24 uger, og virkningen blev hovedsagelig bedømt på en stigning i blodpladetallet over en tærskel på 50 mio. blodplader pr. ml blod. Et blodpladeantal på under 30 mio. pr. ml giver patienterne risiko for blødning. Det normale antal er mellem 150 og 400 mio. pr. ml. I studiet opretholdt de patienter, der blev behandlet med Doptelet, et blodpladetallet, der lå over tærsklen, i gennemsnitligt 12 uger, mens varigheden hos de patienter, der blev behandlet med placebo, var 0 uger.

Hvilke risici er der forbundet med Doptelet?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Doptelet fremgår af indlægssedlen.

Hos patienter med trombocytopeni på grund af langvarig leversygdom omfatter de hyppigste bivirkninger ved Doptelet (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) træthed.

Hos patienter med kronisk primær ITP omfatter de hyppigste bivirkninger ved Doptelet (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) hovedpine og træthed.

Hvorfor er Doptelet godkendt i EU?

Studier har vist, at Doptelet øgede blodpladetallet og mindskede behovet for blodpladetransfusioner eller andre redningsbehandlinger for at forhindre kraftig blødning før et invasivt indgreb og i op til 7 dage efter. Blodpladetallet steg hos patienter, der blev behandlet med Doptelet. Uønskede virkninger under behandlingen med Doptelet mentes at skyldes patientens sygdom og karakteren af det invasive indgreb, som det blev anvendt til.

Lægemidlet øgede også hurtigt blodpladetallet hos patienter med ITP, og virkningen varede i flere måneder. Selv om de langsigtede sikkerhedsdata var begrænsede, blev sikkerhedsprofilen anset for at være acceptabel.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Doptelet opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Doptelet?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Doptelet.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Doptelet løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Doptelet vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Doptelet

Doptelet fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 20. juni 2019.

Yderligere information om Doptelet findes på agenturets websted under:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/doptelet.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 03-2023.