

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

EPAR — sammendrag for offentligheden

Nplate

romiplostim

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Nplate. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Nplate bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Nplate, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Nplate, og hvad anvendes det til?

Nplate anvendes til patienter fra 1 år og opefter med kronisk immun trombocytopenisk purpura (ITP), en sygdom, hvor patientens immunsystem ødelægger blodpladerne (bestanddele i blodet, som er vigtige for blodets evne til at størkne). Patienter med ITP har et lavt antal blodplader og har risiko for blødning.

Nplate anvendes, når behandling med lægemidler såsom kortikosteroider eller immunglobuliner ikke har haft nogen virkning. Nplate kan anvendes til patienter, hvis milt er blevet fjernet, for at kontrollere sygdommen, og til patienter, som stadig har en milt. Milten er et organ, der sidder bag mavesækken, og som medvirker til at fjerne blodplader fra blodet.

Da antallet af patienter med ITP er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Nplate blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 27. maj 2005.

Nplate indeholder det aktive stof romiplostim.

Hvordan anvendes Nplate?

Nplate udleveres kun efter recept, og behandlingen skal overvåges af en læge med erfaring i behandling af blodsygdomme.

Nplate er et pulver, der anvendes til fremstilling af en injektionsvæske, opløsning. Det gives en gang om ugen som en injektion under huden. Startdosen afhænger af patientens vægt og justeres efterfølgende for at holde antallet af blodplader på målniveauerne. Behandlingen skal stoppes, hvis antallet af blodplader ikke når højt nok op til at mindske risikoen for blødning efter 4 ugers behandling med maksimumdosen af Nplate. Voksne, hvis blodplader ligger på et stabilt niveau, kan selv indgive lægemidlet, når de er blevet behørigt instrueret heri.

De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Nplate?

Det aktive stof i Nplate, romiplostim, stimulerer produktionen af blodplader. I kroppen stimulerer et hormon kaldet "trombopoietin" normalt produktionen af blodplader i knoglemarven. Romiplostim er designet til at binde sig til og stimulere de samme mål (receptorer) som trombopoietin. Ved at efterligne trombopoietins virkemåde stimulerer romiplostim produktionen af blodplader. Dermed øger det antallet af blodplader og mindsker risikoen for blødning.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Nplate?

I to hovedstudier hos voksne og en tredje hos børn blev Nplate fundet effektiv til behandling af kronisk ITP. I alle studierne blev Nplate sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling). Patienterne blev behandlet i 24 uger, og virkningen blev hovedsageligt målt på stigningen i blodpladeantallet til over en tærskel på 50 mio. blodplader pr. ml blod i mindst 6 af de sidste 8 behandlingsuger. Et blodpladeantal på under 30 mio. pr. ml giver patienterne risiko for blødning. Det normale antal er mellem 150 og 400 mio. pr. ml.

Det første studie omfattede 63 patienter, hvis sygdom ikke var under kontrol, selv om de havde fået fjernet milten. Blodpladeantallet steg til over tærsklen hos 38 % af de patienter, der fik Nplate (16 ud af 42), sammenlignet med ingen af de 21 patienter, der fik placebo.

Det andet studie omfattede 62 patienter, som tidligere var blevet behandlet for ITP (men som ikke havde fået fjernet milten). Blodpladeantallet steg til over tærsklen hos 61 % af de patienter, der fik Nplate (25 ud af 41), sammenlignet med 5 % af de patienter, der fik placebo (1 ud af 21).

Studiet hos børn omfattede 62 patienter over 1 år og under 18 år, som tidligere var blevet behandlet for ITP (herunder nogle, der havde fået milten fjernet). Blodpladeantallet steg til over tærsklen hos 52 % af de patienter, der fik Nplate (22 ud af 42), sammenlignet med 10 % af de patienter, der fik placebo (2 ud af 20).

Langtidsstudier hos over 1.000 patienter, hvoraf nogle blev behandlet i over 5 år, bekræftede, at Nplate forblev effektiv både hos patienter, der havde fået milten fjernet, og patienter, der havde milten i behold.

Hvilke risici er der forbundet med Nplate?

De hyppigste bivirkninger ved Nplate hos voksne (som optræder hos mere end 1 ud af 10 patienter) er hovedpine, infektioner i næse og hals og allergiske reaktioner (overfølsomhedsreaktioner) såsom udslæt, kløe og hurtige hævelser under huden. De hyppigste bivirkninger hos børn omfatter infektioner i næse og hals, løbende næse, hoste, feber, smerter i mund og hals, mavesmerter, diarré, udslæt og blå mærker. Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Nplate fremgår af indlægssedlen.

Nplate må ikke anvendes til personer, der er overfølsomme (allergiske) over for romiplostim, et eller flere af de øvrige indholdsstoffer eller proteiner, der produceres af *Escherichia coli* (en bakterie).

Hvorfor blev Nplate godkendt?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Nplate opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse for Nplate.

Agenturet bemærkede, at Nplate både var effektivt hos patienter, som havde fået fjernet milten, og hos patienter, som ikke havde fået fjernet milten. Forbedringen i blodpladeantallet var langvarig og klinisk relevant hos begge grupper, selv om behandlingen kun modvirker symptomerne og ikke helbreder. Derfor bør muligheden for at fjerne milten hos de patienter, der stadig har milten i behold, evalueres jævnligt.

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

Virksomheden, der markedsfører Nplate, vil udlevere en "dosisberegner" til lægerne for at hjælpe dem med at beregne de undertiden meget små mængder Nplate, der skal injiceres. Lægerne kan også få udleveret en undervisningspakke med materiale om, hvordan de instruerer patienter, der skal give sig selv injektionerne med Nplate i hjemmet, og materiale til patienterne om, hvordan de klargør lægemidlet til injektion.

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

Andre oplysninger om Nplate

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Nplate den 4. februar 2009.

Den fuldstændige EPAR for Nplate findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Nplate, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Nplate findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 12-2017.