



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ergebnis der Beurteilung der Anwendung von Revolade zur Behandlung von schwerer aplastischer Anämie bei Kindern

Die Europäische Arzneimittel-Agentur hat ihre Beurteilung eines Antrags auf Ausweitung der Anwendung von Revolade auf Kinder mit schwerer aplastischer Anämie (SAA) abgeschlossen. Zwar empfahl die EMA diese Anwendung nicht, war aber damit einverstanden, dass relevante Daten aus der mit dem Antrag vorgelegten Studie in die Produktinformationen des Arzneimittels aufgenommen werden, damit Angehörige der Gesundheitsberufe Zugang zu aktuellen Daten über die Wirkungen von Revolade bei Personen mit SAA haben.

Was ist Revolade und wofür wird es angewendet?

Revolade ist ein Arzneimittel zur Behandlung von:

- primärer Immunthrombozytopenie (ITP), einer Erkrankung, bei der das Immunsystem des Patienten die eigenen Blutplättchen (Blutbestandteile, die zur Blutgerinnung beitragen) zerstört. Patienten mit ITP haben einen Mangel an Blutplättchen (Thrombozytopenie) im Blut und weisen ein Blutungsrisiko auf. Revolade wird bei Patienten ab einem Alter von 1 Jahr angewendet, bei denen eine Behandlung mit Arzneimitteln wie Kortikosteroiden oder Immunglobulinen nicht gewirkt hat. Bei Kindern und Jugendlichen wird das Arzneimittel angewendet, wenn sie die Erkrankung seit mindestens 6 Monaten haben;
- Thrombozytopenie bei erwachsenen Patienten mit chronischer (Langzeit-)Hepatitis-C-Infektion, einer Erkrankung der Leber, die durch das Hepatitis-C-Virus verursacht wird. Revolade wird angewendet, wenn die Thrombozytopenie zu schwer für eine Interferon-basierte Therapie (Behandlungsart für Hepatitis C) ist;
- erworbener SAA (einer Erkrankung, bei der das Knochenmark nicht genügend Blutzellen oder Blutplättchen bildet). Erworben bedeutet, dass die Krankheit nicht ererbt wird. Revolade wird bei Patienten angewendet, deren Erkrankung mit einer Therapie mit Immunsuppressiva (Arzneimittel, die die Immunabwehr des Körpers herabsetzen) nicht beherrscht wird und die keine hämatopoetische Stammzelltransplantation (bei der das Knochenmark des Patienten durch Stammzellen eines Spenders ersetzt wird, um neues Knochenmark zu bilden) erhalten können.

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



Revolade ist seit März 2010 in der Europäischen Union (EU) zugelassen. Es enthält den Wirkstoff Eltrombopag und ist als Tabletten und als Pulver zur Herstellung einer Suspension (einer Flüssigkeit) zum Einnehmen erhältlich.

Weitere Informationen zu den derzeitigen Anwendungsgebieten von Revolade finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

Welche Änderung hatte das Unternehmen beantragt?

Das Unternehmen beantragte die Ausweitung der Anwendung von Revolade auf Kinder im Alter ab 2 Jahren mit SAA, bei denen die Erkrankung durch eine Behandlung mit Immunsuppressiva nicht beherrschbar ist oder danach erneut aufgetreten ist und die keine hämatopoetische Stammzelltransplantation erhalten können.

Wie wirkt Revolade?

Ein natürliches Hormon mit der Bezeichnung „Thrombopoetin“ regt im Körper die Bildung von Blutplättchen an, indem es an bestimmte Rezeptoren (Ziele) im Knochenmark bindet und diese aktiviert. Wie Thrombopoetin bindet auch der Wirkstoff in Revolade, Eltrombopag, an Thrombopoetin-Rezeptoren und stimuliert diese. Dies erhöht die Produktion von Thrombozyten, verbessert die Thrombozytenzahl und senkt das Blutungsrisiko. Bei manchen Patienten mit SAA kann Revolade auch die Bildung von Blutzellen steigern. Es wird erwartet, dass Revolade bei Kindern ab 2 Jahren mit schwerer aplastischer Anämie auf die gleiche Weise wirkt wie bei Erwachsenen mit dieser Erkrankung.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte Ergebnisse aus einer laufenden Hauptstudie vor, an der 51 Kinder im Alter ab 2 Jahren mit SAA teilnahmen, die keine hämatopoetische Stammzelltransplantation erhalten konnten. In dieser Studie hatten 37 Kinder keine vorherige Behandlung erhalten, und 14 Kinder hatten eine Therapie mit Immunsuppressiva erhalten, ihre Erkrankung wurde jedoch nicht beherrscht oder war erneut aufgetreten. Alle Kinder erhielten 26 Wochen lang Revolade in Kombination mit einer Therapie mit Immunsuppressiva. Das Arzneimittel wurde nicht mit einer anderen Behandlung oder Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Das Hauptziel der Studie war es, das Verhalten von Revolade bei Kindern zu beurteilen. Zu den sekundären Zielen gehörte die Beurteilung der Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels.

Schlussfolgerungen der EMA

Die EMA stellte fest, dass, obwohl die vom Antragsteller vorgelegten Ergebnisse der Studie nahelegen, dass Kinder mit SAA von der Behandlung mit Revolade profitieren könnten, nur 14 Patienten in der Studie dem vorgesehenen Verwendungszweck entsprachen. Diese Zahl wurde als zu niedrig erachtet, um eindeutige Schlussfolgerungen zur Wirksamkeit und Sicherheit von Revolade bei diesen Kindern zu ziehen.

Die EMA gelangte daher zu dem Schluss, dass die Sicherheit und Wirksamkeit von Revolade bei Kindern mit SAA nicht ausreichend nachgewiesen wurden und dass es bei diesen Patienten nicht zugelassen werden sollte. Dennoch werden die Verschreibungsinformationen für Revolade aktualisiert, um relevante Daten aufzunehmen, sodass Angehörige der Gesundheitsberufe Zugang zu aktuellen Daten über die Wirkungen von Revolade bei Kindern mit SAA haben.

Hat dieses Ergebnis Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass die Studie zu Revolade bei Kindern mit SAA kürzlich abgeschlossen wurde und dass derzeit keine anderen Studien bei Kindern mit dieser Erkrankung durchgeführt werden.