

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Nplate ρομιπλοστίμη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Nplate. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Nplate.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Nplate, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Nplate και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Nplate χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών ηλικίας 1 έτους και άνω με μακροχρόνια αυτοάνοση (ιδιοπαθή) θρομβοπενική πορφύρα (ΙΘΠ), μια νόσο κατά την οποία το ανοσοποιητικό σύστημα του ασθενούς καταστρέφει τα αιμοπετάλια (συστατικά του αίματος που συμμετέχουν στην πήξη του). Οι ασθενείς με ΙΘΠ έχουν μικρό αριθμό αιμοπεταλίων και διατρέχουν κίνδυνο αιμορραγίας.

Το Nplate χρησιμοποιείται όταν η θεραπεία με φάρμακα όπως τα κορτικοστεροειδή ή οι ανοσοσφαιρίνες δεν ήταν αποτελεσματική. Το Nplate μπορεί να χορηγείται τόσο σε ασθενείς των οποίων ο σπλήνας έχει αφαιρεθεί για τον έλεγχο της ασθένειας όσο και σε αυτούς στους οποίους δεν έχει αφαιρεθεί. Ο σπλήνας, ένα όργανο πίσω από το στομάχι, συμβάλλει στην απομάκρυνση των αιμοπεταλίων από το αίμα.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με ΙΘΠ και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Nplate χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 27 Μαΐου 2005.

Το Nplate περιέχει τη δραστική ουσία ρομιπλοστίμη.

Πώς χρησιμοποιείται το Nplate;

Το Nplate χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η θεραπεία πρέπει να χορηγείται υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στην αντιμετώπιση αιμορραγικών διαταραχών.

Το Nplate είναι σκόνη για την παρασκευή ενέσιμου διαλύματος. Χορηγείται μία φορά την εβδομάδα με υποδόρια ένεση. Η δόση έναρξης εξαρτάται από το βάρος του ασθενούς και στη συνέχεια προσαρμόζεται με σκοπό τη διατήρηση του αριθμού των αιμοπεταλίων στα επιθυμητά επίπεδα. Εάν μετά από 4 εβδομάδες θεραπείας με τη μέγιστη δόση Nplate ο αριθμός των αιμοπεταλίων δεν αυξηθεί τόσο ώστε να μειωθεί ο κίνδυνος αιμορραγίας, η θεραπεία πρέπει να διακόπτεται. Οι ενήλικες με σταθερά επίπεδα αιμοπεταλίων μπορούν να κάνουν την ένεση μόνοι τους εφόσον έχουν λάβει την κατάλληλη εκπαίδευση.

Για περισσότερες πληροφορίες, συμβουλευτείτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Πώς δρα το Nplate;

Η δραστική ουσία του Nplate, η ρομιπλοστίμη, διεγείρει την παραγωγή αιμοπεταλίων. Η ορμόνη θρομβοποιητίνη που υπάρχει στον οργανισμό διεγείρει υπό φυσιολογικές συνθήκες την παραγωγή αιμοπεταλίων στον μυελό των οστών. Η ρομιπλοστίμη έχει σχεδιαστεί για να προσκολλάται και να διεγείρει τους ίδιους στόχους (υποδοχείς) με τη θρομβοποιητίνη. Η ρομιπλοστίμη, μιμούμενη τη δράση της θρομβοποιητίνης, διεγείρει την παραγωγή αιμοπεταλίων αυξάνοντας με αυτόν τον τρόπο τον αριθμό τους στο αίμα και μειώνοντας τον κίνδυνο αιμορραγίας.

Ποια είναι τα οφέλη του Nplate σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε δύο βασικές μελέτες σε ενήλικες και σε μια τρίτη σε παιδιά διαπιστώθηκε ότι το Nplate είναι αποτελεσματικό για τη θεραπεία της μακροχρόνιας ΙΘΠ. Σε όλες τις μελέτες το Nplate συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Οι ασθενείς έλαβαν θεραπεία για 24 εβδομάδες και ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η αύξηση του αριθμού των αιμοπεταλίων πάνω από την τιμή κατωφλίου των 50 εκατομμυρίων ανά χιλιοστόλιτρο αίματος για διάστημα τουλάχιστον έξι εκ των οκτώ τελευταίων εβδομάδων της θεραπείας. Αν ο αριθμός αιμοπεταλίων είναι κάτω από 30 εκατομμύρια ανά χιλιοστόλιτρο θεωρείται ότι θέτει τους ασθενείς σε κίνδυνο πρόκλησης αιμορραγίας, ενώ ο φυσιολογικός αριθμός κυμαίνεται μεταξύ 150 και 400 εκατομμύρια ανά χιλιοστόλιτρο.

Στην πρώτη μελέτη μετείχαν 63 ασθενείς που είχαν υποβληθεί

σε σπληνεκτομή χωρίς ωστόσο να έχει επιτευχθεί έλεγχος της νόσου. Ο αριθμός των αιμοπεταλίων αυξήθηκε υπερβαίνοντας την τιμή κατωφλίου στο 38% των ασθενών που έλαβαν Nplate (16 από τους 42) σε σύγκριση με κανέναν από τους 21 ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Στη δεύτερη μελέτη μετείχαν 62 ασθενείς οι οποίοι κατά το παρελθόν είχαν υποβληθεί σε θεραπεία για ΙΘΠ (οι οποίοι όμως δεν είχαν υποβληθεί σε σπληνεκτομή). Ο αριθμός των αιμοπεταλίων αυξήθηκε πάνω από την τιμή κατωφλίου στο 61% των ασθενών που έλαβαν Nplate (25 από τους 41) σε σύγκριση με το 5% των ασθενών που έλαβαν εικονικό φάρμακο (1 από τους 21).

Στη μελέτη σε παιδιά μετείχαν 62 ασθενείς ηλικίας από 1 έως κάτω από 18 ετών οι οποίοι κατά το παρελθόν είχαν υποβληθεί σε θεραπεία για ΙΘΠ (συμπεριλαμβανομένων ορισμένων οι οποίοι είχαν υποβληθεί σε σπληνεκτομή). Ο αριθμός των αιμοπεταλίων αυξήθηκε πάνω από την τιμή κατωφλίου στο 52% των ασθενών που έλαβαν Nplate (22 από τους 42) σε σύγκριση με το 10% των ασθενών που έλαβαν εικονικό φάρμακο (2 από τους 20).

Μακροχρόνιες μελέτες στις οποίες μετείχαν περισσότεροι από 1.000 ασθενείς, ορισμένοι εκ των οποίων έλαβαν θεραπεία για πάνω από 5 έτη, επιβεβαίωσαν ότι το Nplate παρέμεινε αποτελεσματικό τόσο σε ασθενείς με σπληνεκτομή όσο και σε ασθενείς που δεν είχαν υποβληθεί σε σπληνεκτομή.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Nplate;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Nplate σε ενήλικες (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι πονοκέφαλος, λοιμώξεις της μύτης και του λαιμού και αλλεργικές αντιδράσεις (υπερευαισθησία) όπως εξάνθημα, κνησμός και ταχύ οίδημα κάτω από το δέρμα. Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες σε παιδιά είναι λοιμώξεις της μύτης και του λαιμού, καταρροή, βήχας, πυρετός, πόνος στο στόμα και στον λαιμό, κοιλιακό άλγος, διάρροια, εξάνθημα και μώλωπες. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Nplate, περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Nplate δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που παρουσιάζουν υπερευαισθησία (αλλεργία) στη ρομιπλοστίμη, σε οποιοδήποτε άλλο από τα συστατικά του φαρμάκου ή σε πρωτεΐνες που παράγονται από το *Escherichia coli* (τύπος βακτηρίου).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Nplate;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Nplate υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Ο Οργανισμός έκρινε ότι το Nplate ήταν αποτελεσματικό τόσο σε ασθενείς που είχαν υποβληθεί σε σπληνεκτομή όσο και σε ασθενείς που δεν είχαν υποβληθεί σε αυτήν. Η βελτίωση του αριθμού των αιμοπεταλίων ήταν μακράς διάρκειας και κλινικά σημαντική για αμφότερες τις ομάδες ασθενών, παρόλο που η θεραπεία αντιμετωπίζει μόνο τα συμπτώματα και δεν αποσκοπεί στην ίαση. Ως εκ τούτου, η ανάγκη χειρουργικής επέμβασης των ασθενών που δεν έχουν υποβληθεί σε σπληνεκτομή πρέπει να αξιολογείται κατά περιόδους.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Nplate;

Η παρασκευάστρια εταιρεία του Nplate θα διαθέσει στους γιατρούς «υπολογιστή δοσολογίας» για να τους βοηθήσει να υπολογίζουν την ποσότητα Nplate που πρέπει να χορηγείται, η οποία ενίοτε είναι πολύ μικρή. Στους γιατρούς μπορεί επίσης να παρασχεθεί εκπαιδευτικό υλικό για κατ' οίκον χορήγηση του φαρμάκου, το οποίο θα περιέχει υλικό για την εκπαίδευση των ασθενών ώστε να χορηγούν μόνοι τους την ένεση με Nplate, καθώς και υλικό για τους ασθενείς σχετικά με τον τρόπο προετοιμασίας του φαρμάκου.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του φαρμάκου έχουν συμπεριληφθεί επίσης οι συστάσεις τις οποίες θα πρέπει να ακολουθήσουν και οι προφυλάξεις τις οποίες θα πρέπει να λάβουν οι επαγγελματίες υγείας και οι ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Nplate.

Λοιπές πληροφορίες για το Nplate

Στις 4 Φεβρουαρίου 2009, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Nplate.

Η πλήρης EPAR του Nplate διατίθεται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Nplate, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Nplate διατίθεται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 12-2017.