



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Doptelet (*avatrombopag*)

A Doptelet-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer a Doptelet és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Doptelet az alábbiak kezelésére alkalmazott gyógyszer:

- súlyos trombocitopénia (a vérlemezkek alacsony szintje, amely vérzéshez vezethet) hosszú ideje fennálló májbetegség miatt olyan felnőtteknél, akiknek invazív eljárás kell átesniük (olyan orvosi eljárás, amely magában foglalja a bőr felvágását vagy átlukasztását, vagy műszerek behelyezését a testbe, amikor fennáll a vérzés kockázata);
- primer krónikus immuntrombocitopéniában (ITP) szenvedő felnőtteknél, ami egy olyan betegség, amelynél a beteg immunrendszere elpusztítja a vérlemezkéket. Akkor alkalmazzák, ha más kezelések (például kortikoszteroidok vagy immunglobulinok) nem voltak hatásosak.

A Doptelet hatóanyaga az avatrombopag.

### **Hogyan kell alkalmazni a Doptelet-et?**

A Doptelet csak receptre kapható, és a kezelést a vérbetegségek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie. A Doptelet tabletta formájában kapható. .

Az invazív beavatkozás előtt álló, régóta fennálló májbetegség miatt súlyos trombocitopéniában szenvedő betegeknek a Doptelet-et 5 napon keresztül naponta egyszer kell alkalmazni, és a kezelést a beavatkozás előtt 10–13 nappal kell megkezdeni. Az eljárás napján vérvizsgálatot kell végezni annak ellenőrzésére, hogy megfelelő-e és nem váratlanul magas-e a vérlemezkeszám.

Primer krónikus ITP-ben szenvedő betegek esetében a Doptelet adagja és alkalmazásának gyakorisága a kezelés alatti vérlemezkeszámtól függ. A vérlemezkeszinteket rendszeresen ellenőrizni kell annak érdekében, hogy azok ne legyenek túl alacsonyak vagy túl magasak, és szükség szerint módosítani kell a Doptelet adagját. A kezelést le kell állítani, ha a vérlemezkeszám a legmagasabb adaggal végzett 4 hetes kezelés után sem emelkedett megfelelően, vagy ha a legalacsonyabb adaggal végzett 2 hetes kezelés után is túl magas.

A Doptelet alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)  
**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Hogyan fejti ki hatását a Doptelet?

A szervezetben található, trombopoietinnek nevezett hormon a csontvelőben lévő receptorokhoz (céltreceptorokhoz) kötődve serkenti a vérlemezkék termelődését. A Doptelet hatóanyaga, az avatrombopag ugyanazokhoz a receptorokhoz kötődik, mint a trombopoietin, segítve ezáltal a vérlemezkék számának emelkedését.

## Milyen előnyei voltak a Doptelet alkalmazásának a vizsgálatok során?

Két fő vizsgálatban, amelyekben 435, régóta fennálló májbetegség miatt alacsony vérlemezkeszámmal rendelkező beteg vett részt, a Doptelet hatásosnak bizonyult a vérlemezkeszám növelésében az invazív eljárást megelőzően. A hatásosság fő mutatója azon betegek száma volt, akiknél a Doptelet-kezelés megkezdését követően és az invazív eljárást követő legalább 7 napon át nem volt szükség vérlemezke-transzfúzióra vagy egyéb kezelésre („életmentő beavatkozás”) a kiterjedt vérzés megelőzése érdekében.

Ezekben a vizsgálatokban a Doptelet-tel naponta kezelt betegek 88%-ának nem volt szüksége transzfúzióra vagy életmentő beavatkozásra, szemben a placebót (hatóanyag nélküli kezelés) kapó betegek 36%-ával. A súlyosabb trombocitopéniában szenvedő betegeknél a Doptelet-tel naponta kezelt betegek 67%-ának nem volt szüksége transzfúzióra vagy életmentő beavatkozásra, szemben a placebót (hatóanyag nélküli kezelés) kapó betegek 29%-ával.

Egy másik vizsgálatban, amelyben 49, krónikus ITP-ben szenvedő felnőtt vett részt, a Doptelet-kezelést placebóval hasonlították össze. A betegeket 24 hétig kezelték, és a hatásosság fő mutatója a vérlemezkeszám 50 millió/ml-es küszöb feletti növekedése volt. A 30 millió/ml alatti vérlemezkeszám növeli a betegek vérzési kockázatát, míg a normál vérlemezkeszám 150–400 millió/ml. A vizsgálatban a Doptelet-tel kezelt betegek vérlemezkeszáma átlagosan 12 héten keresztül maradt a küszöbérték felett, míg a placebóval kezelt betegeknél ez 0 hét volt.

## Milyen kockázatokkal jár a Doptelet alkalmazása?

A Doptelet alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A tartós májbetegség következtében trombocitopéniában szenvedő betegeknél a Doptelet leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a fáradtság.

Krónikus primer ITP-ben szenvedő betegeknél a Doptelet leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás és a fáradtság.

## Miért engedélyezték a Doptelet forgalomba hozatalát az EU-ban?

A vizsgálatok azt mutatták, hogy a Doptelet növelte a vérlemezkeszámot, és az invazív eljárás előtt és az azt követő 7 napon keresztül csökkentette a túlzott mértékű vérzés megelőzése érdekében vérlemezke-transzfúzió vagy egyéb életmentő beavatkozások szükségességét. A Doptelet-tel kezelt betegeknél nőtt a vérlemezkeszám. A Doptelet-kezelések során bekövetkező nemkívánatos hatások feltételezhetően a betegek egészségügyi állapotából és annak az invazív eljárásnak a jellegéből adódtak, amelyre a gyógyszert alkalmazták.

A gyógyszer gyorsan növelte a vérlemezkeszámot az ITP-ben szenvedő betegeknél is, és a hatás több hónapig tartott. Bár a hosszú távú biztonságossági adatok korlátozottak voltak, a biztonságossági profilt elfogadhatónak tartották.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Doptelet alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Doptelet biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Doptelet biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Doptelet alkalmazásával kapcsolatos információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Doptelet alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **A Doptelet-tel kapcsolatos egyéb információ**

2019. június 20-án a Doptelet az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Doptelet-tel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/doptelet](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/doptelet).

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 03-2023.