



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Doptelet (*avatrombopag*)

Sintesi di Doptelet e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Doptelet e per cosa si usa?

Doptelet è un medicinale usato per trattare:

- trombocitopenia grave (bassi livelli di piastrine che possono causare sanguinamento) a causa di una malattia epatica cronica negli adulti che devono sottoporsi a una procedura invasiva (procedura medica che comporta il taglio o la perforazione della pelle o l'inserimento di strumenti nell'organismo in presenza di un rischio di sanguinamento);
- adulti affetti da trombocitopenia immune cronica primaria (ITP), una malattia in cui il sistema immunitario del paziente distrugge le piastrine. È usato quando altri trattamenti (come corticosteroidi o immunoglobuline) non hanno funzionato.

Doptelet contiene il principio attivo avatrombopag.

Come si usa Doptelet?

Doptelet può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato e controllato da un medico esperto nel trattamento delle malattie ematologiche. Doptelet è disponibile sotto forma di compresse.

Per i pazienti affetti da trombocitopenia grave a causa di una malattia epatica cronica che presumibilmente si sottoporranno a una procedura invasiva, Doptelet viene somministrato una volta al giorno per cinque giorni e il trattamento deve iniziare da 10 a 13 giorni prima della procedura. Il giorno della procedura è necessario effettuare un esame del sangue onde assicurare che la conta piastrinica sia adeguata e non inaspettatamente elevata.

Per i pazienti affetti da ITP cronica primaria, la dose e la frequenza di assunzione di Doptelet dipendono dalla conta piastrinica rilevata durante il trattamento. I livelli di piastrine nel sangue devono essere controllati regolarmente per verificare che non siano troppo bassi o troppo elevati e per aggiustare la dose di Doptelet secondo necessità. Il trattamento deve essere interrotto se la conta piastrinica non è aumentata adeguatamente dopo quattro settimane di trattamento alla dose più alta o se è troppo elevata dopo due settimane alla dose più bassa.

Per maggiori informazioni sull'uso di Doptelet, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

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



Come agisce Doptelet?

Un ormone denominato “trombopoietina” presente nell’organismo stimola la produzione di piastrine, legandosi a taluni recettori nel midollo osseo. Il principio attivo di Doptelet, avatrombopag, si lega agli stessi recettori della trombopoietina, contribuendo ad aumentare la conta piastrinica.

Quali benefici di Doptelet sono stati evidenziati negli studi?

Due studi principali condotti su 435 pazienti con livelli di piastrine bassi a causa di una malattia epatica cronica hanno riscontrato l’efficacia di Doptelet nell’incrementare i livelli di piastrine prima di una procedura invasiva. La principale misura dell’efficacia era il numero di pazienti che non hanno richiesto una trasfusione di piastrine o altri trattamenti (“procedura di soccorso”) per evitare un eccessivo sanguinamento dopo l’inizio del trattamento con Doptelet e fino a 7 giorni dopo la procedura invasiva.

In questi studi, l’88 % dei pazienti trattati con Doptelet ogni giorno non ha richiesto una procedura di trasfusione o di soccorso rispetto al 36 % dei pazienti che ha ricevuto placebo (un trattamento fittizio). Tra i pazienti con trombocitopenia più grave, il 67 % di quelli ai quali è stato somministrato ogni giorno Doptelet non ha richiesto una procedura di trasfusione o di soccorso rispetto al 29 % di coloro che avevano assunto un placebo.

In un altro studio condotto su 49 adulti affetti da ITP cronica, il trattamento con Doptelet è stato confrontato con placebo. I pazienti sono stati trattati per 24 settimane e la principale misura dell’efficacia è stato un aumento della conta piastrinica al di sopra di una soglia di 50 milioni di piastrine per millilitro di sangue. Una conta piastrinica inferiore ai 30 milioni per millilitro mette i pazienti a rischio di sanguinamento, mentre la conta normale è compresa tra 150 e 400 milioni per millilitro. Nello studio, i pazienti trattati con Doptelet hanno mantenuto una conta piastrinica superiore alla soglia per una media di 12 settimane, mentre per i pazienti che hanno ricevuto un placebo, questo si è verificato per zero settimane.

Quali sono i rischi associati a Doptelet?

Per l’elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Doptelet, vedere il foglio illustrativo.

Nei pazienti affetti da trombocitopenia dovuta a malattia epatica cronica, gli effetti indesiderati più comuni di Doptelet (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono la stanchezza.

Nei pazienti con ITP primaria cronica, gli effetti indesiderati più comuni di Doptelet (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono cefalea e stanchezza.

Perché Doptelet è autorizzato nell’UE?

In base agli studi effettuati, Doptelet ha aumentato la conta piastrinica e ridotto la necessità di trasfusioni piastriniche o di altri trattamenti di soccorso per prevenire un eccessivo sanguinamento prima di una procedura invasiva e fino a sette giorni successivi. La conta piastrinica è aumentata nei pazienti trattati con Doptelet. Gli effetti indesiderati riscontrati durante il trattamento con Doptelet erano probabilmente dovuti alle condizioni di salute dei pazienti e al tipo di procedura invasiva per il quale era stato utilizzato il medicinale.

Il medicinale ha inoltre aumentato rapidamente la conta piastrinica nei pazienti affetti da PTI e l’effetto è durato diversi mesi. Sebbene i dati sulla sicurezza a lungo termine siano limitati, il profilo di sicurezza è stato considerato accettabile.

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Doptelet sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Doptelet?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Doptelet sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Doptelet sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Doptelet sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Doptelet

Doptelet ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 20 giugno 2019.

Ulteriori informazioni su Doptelet sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/doptelet.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 03-2023.