



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Doptelet (*awatrombopag*)

Przegląd wiedzy na temat leku Doptelet i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Czym jest lek Doptelet i w jakim celu się go stosuje

Doptelet jest lekiem stosowanym w leczeniu:

- ciężkiej małopłytkowości (niska liczba płytek krwi, która może prowadzić do krwawienia) spowodowanej przewlekłą chorobą wątroby u osób dorosłych, którzy mają być poddani poddawanych inwazyjnemu zabiegowi (zabieg medyczny związany z rozcięciem lub nakłuciem skóry lub wprowadzaniem narzędzi do wnętrza organizmu, w związku z którym istnieje ryzyko krwawienia);
- osób dorosłych z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną (ang. *primary chronic immune thrombocytopenia*, ITP) – chorobą, w przebiegu której układ odpornościowy pacjenta niszczy płytki krwi. Lek stosuje się, gdy inne metody leczenia (takie jak kortykosteroidy lub immunoglobuliny) nie zadziałały.

Substancją czynną zawartą w leku Doptelet jest awatrombopag.

### Jak stosować lek Doptelet

Lek wydawany na receptę. Leczenie należy rozpocząć i prowadzić pod nadzorem lekarza mającego doświadczenie w leczeniu chorób hematologicznych. Lek Doptelet jest dostępny w postaci tabletek.

U pacjentów z ciężką małopłytkowością spowodowaną przewlekłą chorobą wątroby, u których planowany jest zabieg inwazyjny, lek Doptelet podaje się raz na dobę przez 5 dni, a leczenie należy rozpocząć od 10 do 13 dni przed zabiegiem. W dniu zabiegu konieczne jest wykonanie badania krwi, aby upewnić się, że liczba płytek krwi jest odpowiednia, a nie niespodziewanie wysoka.

U pacjentów z przewlekłą pierwotną ITP dawka leku Doptelet i częstość jej przyjmowania zależą od poziomu płytek krwi w trakcie leczenia. Należy regularnie kontrolować poziom płytek krwi w celu upewnienia się, że nie jest on zbyt niski ani zbyt wysoki oraz w razie potrzeby dostosować dawkę leku Doptelet. Leczenie należy przerwać, jeżeli poziom płytek krwi nie zwiększy się odpowiednio po 4 tygodniach leczenia najwyższą dawką lub jest zbyt wysoki po 2 tygodniach leczenia najniższą dawką.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Doptelet znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

**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



## **Jak działa lek Doptelet**

Wytwarzanie płytek krwi w organizmie jest stymulowane przez hormon o nazwie trombopoetyna, który przyłącza się do odpowiednich receptorów (celów) w szpiku kostnym. Substancja czynna leku Doptelet, awatrombopag, przyłącza się do tych samych receptorów co trombopoetyna, pomagając w ten sposób w zwiększeniu liczby płytek krwi.

## **Korzyści ze stosowania leku Doptelet wykazane w badaniach**

W dwóch badaniach głównych z udziałem 435 pacjentów z niskim poziomem płytek krwi w związku z przewlekłą chorobą wątroby wykazano, że lek Doptelet skutecznie zwiększa poziom płytek krwi przed zabiegiem inwazyjnym. Głównym kryterium oceny skuteczności była liczba pacjentów, którzy nie wymagali przetoczenia płytek krwi ani innego rodzaju leczenia („zabieg ratunkowy”) w celu zapobiegania nadmiernemu krwawieniu po rozpoczęciu terapii lekiem Doptelet oraz maksymalnie 7 dni po zabiegu inwazyjnym.

W badaniach tych 88% pacjentów otrzymujących codziennie lek Doptelet nie wymagało przetoczenia krwi ani zabiegu ratunkowego w porównaniu z 36% pacjentów przyjmujących placebo (leczenie pozorowane). Wśród pacjentów z ostrzejszą postacią małopłytkowości 67% osób, którym podano codziennie Doptelet, nie wymagało przetoczenia krwi ani zabiegu ratunkowego w porównaniu z 29% osób otrzymujących placebo.

W innym badaniu z udziałem 49 osób dorosłych z przewlekłą ITP podawanie leku Doptelet porównywano z podawaniem placebo. Pacjentów leczono przez 24 tygodnie, a głównym kryterium oceny skuteczności był wzrost liczby płytek krwi powyżej progu 50 mln płytek krwi na mililitr krwi. Liczba płytek krwi wynosząca poniżej 30 mln na mililitr stwarza ryzyko krwawienia u pacjentów, natomiast prawidłowa liczba płytek krwi wynosi od 150 do 400 mln na mililitr. W badaniu u pacjentów, którym podawano lek Doptelet liczba płytek krwi utrzymywała się na poziomie powyżej wartości progowej średnio przez 12 tygodni, podczas gdy u pacjentów otrzymujących placebo – przez 0 tygodni.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Doptelet**

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Doptelet znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

U pacjentów z ciężką małopłytkowością spowodowaną przewlekłą chorobą wątroby najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Doptelet (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to zmęczenie.

U pacjentów z przewlekłą pierwotną ITP najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Doptelet (mogące wystąpić częściej niż u 1 osoby na 10) to ból głowy i zmęczenie.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Doptelet w UE**

W badaniach wykazano, że lek Doptelet zwiększał liczbę płytek krwi i zmniejszał zapotrzebowanie na przetoczenie płytek krwi lub inne zabiegi ratunkowe w celu zapobiegania nadmiernemu krwawieniu przed zabiegiem inwazyjnym oraz do 7 dni po zabiegu. U pacjentów przyjmujących lek Doptelet liczba płytek krwi wzrosła. Wszelkie działania niepożądane występujące w trakcie stosowania leku Doptelet zostały uznane za wynikające z ogólnego stanu zdrowia pacjentów i inwazyjnego charakteru zabiegu, w związku z którym lek ten zastosowano.

Lek spowodował również szybki wzrost liczby płytek krwi u pacjentów z ITP, a efekt ten utrzymywał się przez kilka miesięcy. Chociaż dane dotyczące długoterminowego bezpieczeństwa są ograniczone, profil bezpieczeństwa uznano za akceptowalny.

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Doptelet przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Doptelet**

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Doptelet w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Doptelet są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Doptelet są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące leku Doptelet**

Lek Doptelet otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 20 czerwca 2019 r.

Dalsze informacje na temat leku Doptelet znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/doptelet](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/doptelet).

Data ostatniej aktualizacji: 03.2023.