



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Doptelet (*avatrombopag*)

Sammanfattning av Doptelet och varför det är godkänt inom EU

Vad är Doptelet och vad används det för?

Doptelet är ett läkemedel som används för att behandla

- svår trombocytopeni (låga nivåer av blodplättar som kan leda till blödning) till följd av långvarig leversjukdom hos vuxna som måste genomgå ett invasivt ingrepp (ett medicinskt ingrepp som innebär att man skär i eller punkterar huden, alternativt att instrument förs in i kroppen där det finns risk för blödning),
- vuxna med primär kronisk immuntrombocytopeni (ITP), en sjukdom där patientens immunsystem förstör blodplättar. Det används när andra behandlingar (t.ex. kortikosteroider eller immunoglobuliner) inte har fungerat.

Doptelet innehåller den aktiva substansen avatrombopag.

Hur används Doptelet?

Doptelet är receptbelagt och behandlingen ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla blodsjukdomar. Doptelet finns som tablett.

Patienter med svår trombocytopeni till följd av långvarig leversjukdom som står inför ett invasivt ingrepp ska ges Doptelet en gång dagligen i 5 dagar och behandlingen ska inledas 10–13 dagar före ingreppet. Ett blodprov ska tas samma dag som ingreppet ska ske för att kontrollera att antalet blodplättar är lämpligt och inte på en oväntat hög nivå.

För patienter med primär kronisk ITP anpassas dosen Doptelet och hur ofta den ska tas utifrån antalet blodplättar som uppmäts under behandlingen. Blodplättnivåerna måste kontrolleras regelbundet för att säkerställa att de varken är för låga eller för höga, och för att vid behov justera Doptelet-dosen. Behandlingen ska avbrytas om antalet blodplättar inte har ökat tillräckligt efter 4 veckors behandling vid den högsta dosen eller om antalet är för stort efter 2 veckors behandling vid den lägsta dosen.

För mer information om hur du använder Doptelet, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.



Hur verkar Doptelet?

I kroppen finns ett hormon, trombopoetin, som stimulerar produktionen av blodplättar genom att binda till receptorer (mål) i benmärgen. Den aktiva substansen i Doptelet, avatrombopag, binder till samma receptorer som trombopoetin, vilket bidrar till att öka antalet blodplättar.

Vilka fördelar med Doptelet har visats i studierna?

I två huvudstudier på 435 patienter med lågt antal blodplättar på grund av långvarig leversjukdom konstaterades att Doptelet var effektivt för att öka antalet blodplättar inför ett invasivt ingrepp. Huvudeffektmåttet var antalet patienter hos vilka det inte krävdes en transfusion av blodplättar eller annan behandling (räddningsinsats) för att förhindra överdriven blödning efter att behandlingen med Doptelet inletts och i upp till 7 dagar efter det invasiva ingreppet.

Hos 88 procent av de patienter som fick Doptelet dagligen i dessa studier krävdes ingen transfusion eller räddningsinsats, jämfört med 36 procent av de patienter som fick placebo (overksam behandling). Bland patienter med svårare trombocytopeni behövde 67 procent av dem som fick Doptelet dagligen ingen transfusion eller räddningsinsats, jämfört med 29 procent av dem som fick placebo.

I en annan studie, på 49 vuxna med kronisk ITP, jämfördes Doptelet-behandling med placebo. Patienterna behandlades i 24 veckor och huvudeffektmåttet utgjordes av ökningen av antalet trombocyter över ett tröskelvärde på 50 miljoner blodplättar per milliliter blod. Om antalet blodplättar är lägre än 30 miljoner per milliliter riskerar patienterna att blöda, medan det normala antalet ligger på 150–400 miljoner per milliliter. Hos de patienter som behandlades med Doptelet i studien hölls antalet blodplättar över tröskelvärdet under i genomsnitt 12 veckor, medan motsvarande värde för patienterna som behandlades med placebo var 0 veckor.

Vilka är riskerna med Doptelet?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Doptelet finns i bipacksedeln.

Hos patienter med trombocytopeni på grund av långvarig leversjukdom är de vanligaste biverkningarna som orsakas av Doptelet (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) trötthet.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Doptelet hos patienter med kronisk primär ITP (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är huvudvärk och trötthet.

Varför är Doptelet godkänt i EU?

Studier har visat att Doptelet ökar antalet blodplättar och minskar behovet av blodplättstransfusioner eller andra räddningsinsatser för att förhindra kraftig blödning inför ett invasivt ingrepp och i upp till 7 dagar efter ingreppet. Antalet blodplättar ökade hos patienter som behandlades med Doptelet. De oönskade effekter som konstaterades under behandling med Doptelet tros bero på patienternas hälsotillstånd och typen av invasivt ingrepp som läkemedlet användes för.

Läkemedlet ökade också snabbt antalet blodplättar hos patienter med ITP och effekten varade i flera månader. Även om de långsiktiga säkerhetsuppgifterna var begränsade ansågs säkerhetsprofilen vara godtagbar.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Doptelet är större än riskerna och att Doptelet kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Doptelet?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Doptelet har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Doptelet kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Doptelet utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Doptelet

Den 20 juni 2019 beviljades Doptelet ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Doptelet finns på EMA:s webbplats:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/doptelet.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 03-2023.