



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/473109/2019
EMA/H/C/000236

Ferriprox (*deferipron*)

A Ferriprox-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Ferriprox és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Ferriprox vaskelátképző (a vashoz kötődő anyag), amelyet súlyos thalassaemiában szenvedő betegek vastúlterhelésének (túl sok vas jelenléte a szervezetben) kezelésére alkalmaznak. Ez egy olyan örökletes betegség, amelynek során a betegek szervezete nem képes elegendő mennyiségű hemoglobint termelni, amely a vörösvérsejtekben található, az oxigént a szervezetben szállító fehérje.

A Ferriprox-ot az alábbi módokon alkalmazzák:

- önmagában, amikor a szokványos vaskelátképző-kezelés nem alkalmazható vagy nem elég hatásos;
- más vaskelátképzővel kombinálva, amikor az önmagában alkalmazott egyik vaskelátképző nem hatásos, illetve amikor a (főként a szívet érintő) életveszélyes betegségek megelőzéséhez vagy kezeléséhez a vér vasszintjének gyors vagy intenzív korrigálására van szükség.

A Ferriprox hatóanyaga a deferipron.

Hogyan kell alkalmazni a Ferriprox-ot?

A Ferriprox csak receptre kapható, és a kezelést a thalassaemia kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és folytatnia. Tabletta (500 mg és 1000 mg) és belsőleges oldat (100 mg/ml) formájában kerül forgalomba.

A Ferriprox szokásos adagja testtömeg-kilogrammonként 25 mg naponta háromszor. A kezelőorvos a Ferriprox adagját attól függően módosíthatja, hogy a beteg vasszintjét mennyire sikerül kontrollálni. Ezt 2-3 havonta, vérvizsgálattal kell mérni. A teljes napi adag legfeljebb 100 mg testtömeg-kilogrammonként. A kezelőorvos megszakíthatja a kezelést, ha a vas szintje túl alacsonyra csökken.

A Ferriprox 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

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Hogyan fejti ki hatását a Ferriprox?

A súlyos thalassaemiában szenvedő betegeknek gyakran van szükségük vérátömlesztésre. Az átömlesztett vörösvérsejtekkel együtt vas kerül a szervezetbe. Az ismételt vérátömlesztéseknek köszönhetően a vas felhalmozódik a szervezetben, mert nincs természetes módja a felesleges vas mennyiség eltávolításának. Idővel a vas felesleg károsíthatja a létfontosságú szerveket, például a szívet és a májat. A Ferriprox hatóanyaga, a deferipron, egy „vaskelátképző”. A szervezetben a vashoz kötődve egy olyan vegyületet képez, amely már képes kiürülni a szervezetből, főként a vizelettel, illetve kisebb mértékben a széklettel. A vas ily módon történő eltávolítása segít megszüntetni a vastülsúlyterhelést és megelőzi a felesleges vas mennyiség miatti károsodást.

Milyen előnyei voltak a Ferriprox alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Ferriprox-ot 247, hat évnél idősebb, súlyos thalassaemiában szenvedő betegnél tanulmányozták. A hatásosság fő mutatója a vér ferritinszintjének változása volt. A vér ferritinszintje a szervezetben tárolt vas mennyiségét jelzi.

A fő vizsgálatban a Ferriprox-ot 71 betegnél deferoxaminnal (egy másik vaskelát-képző) hasonlították össze két éven keresztül. A deferoxamint bőr alá adott injekció formájában kell alkalmazni. A vér ferritinszintje mindkét kezelési csoportban hasonló átlagértékeket mutatott. A Ferriprox-szal kezelt betegeknél azonban úgy tűnt, hogy az átlagos vaskoncentráció a májban jobban megnőtt, mint a deferoxaminnal kezelt betegek esetében.

Egy másik vizsgálatban a Ferriprox-szal és a deferoxaminnal váltakozva végzett kezelést (hetente öt nap Ferriprox és két nap deferoxamin) hasonlították össze a folyamatos deferoxamin monoterápiával 60 betegnél, 12 hónapon keresztül. A kombinált kezelés ugyanolyan mértékben csökkentette a betegek ferritinszintjét, mint az önmagában alkalmazott deferoxamin. A vizsgálatban részt vevő betegek száma nem volt elegendő annak igazolására, hogy egy ilyen adagolási séma ugyanolyan hatásos-e, mint az önmagában alkalmazott deferoxamin.

Ezenkívül a deferoxaminnal kombinált Ferriprox alkalmazására irányuló publikált vizsgálatok a vér ferritinszintjének jelentősebb csökkenéséről számoltak be a kombináció alkalmazása esetén, mint az egyes gyógyszerek önálló alkalmazása során. Az egyik publikált vizsgálatban a deferoxaminnal kombinált Ferriprox jelentősebb mértékben csökkentette a vas mennyiségét a szívben, mint az önmagában alkalmazott deferoxamin.

Milyen kockázatokkal jár a Ferriprox alkalmazása?

A Ferriprox leggyakoribb mellékhatásai (10 személy közül több mint 1-nél jelentkezhet) a vörösesbarna vizelet (ami a vas kiürülését mutatja), az émelygés (hányinger), a hasi fájdalom és a hányás. Kevésbé gyakori, de súlyosabb mellékhatások az agranulocitózis (az egyik fehérvérsejt-típus, a granulociták nagyon alacsony szintje) és neutropénia (a fertőzések ellen küzdő fehérvérsejt-típus, a neutrofilek alacsony szintje).

A Ferriprox nem alkalmazható olyan személyeknél, akiknél agranulocitózis, illetve ismételt neutropénia jelentkezett. A Ferriprox nem adható együtt olyan gyógyszerekkel sem, amelyek neutropéniát vagy agranulocitózist okozhatnak. A Ferriprox alkalmazása során a beteg neutrofilszámát rendszeresen ellenőrizni kell (az első évben hetente, később ritkábban). Ha a beteg fertőzést kap, a Ferriprox-kezelést ideiglenesen fel kell függeszteni, és a neutrofilszámot gyakrabban kell ellenőrizni. A betegeknek azonnal közölniük kell kezelőorvosukkal, ha fertőzés tüneteit – láz, torokfájás és influenzaszerű tünetek – érzékelik.

A Ferriprox nem adható terhes nőknek, illetve szoptató anyáknak.

A Ferriprox alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes korlátozás és mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Ferriprox forgalomba hozatalát az EU-ban?

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

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Ferriprox biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Ferriprox-ot forgalmazó vállalatnak egy figyelmeztető kártyát kell biztosítania a betegek vagy gondozók számára, amely a következőkre hívja fel a figyelmet: fontos a neutrofilszám rendszeres ellenőrzése, figyelni kell a fertőzésre utaló tünetekre, illetve a Ferriprox-kezelés alatt a nőknek kerülniük kell a teherbe esést.

Az alkalmazási előírás és a betegtájékoztató a Ferriprox biztonságos és hatékony alkalmazásával kapcsolatos, az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlásokat és óvintézkedéseket is tartalmaz.

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

A Ferriprox-szal kapcsolatos egyéb információ

1999. augusztus 25-én a Ferriprox az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Ferriprox-szal kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ferriprox.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 09-2019.