



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ferriprox (*deferypron*)

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

Czym jest lek Ferriprox i w jakim celu się go stosuje

Ferriprox jest środkiem chelatującym żelazo (substancja, która przyłącza się do żelaza), stosowanym w leczeniu nadmiaru żelaza u pacjentów z talasemią typu major. Jest to choroba dziedziczna, w przypadku której organizm pacjenta nie jest w stanie wytwarzać wystarczającej ilości hemoglobiny, białka występującego w krwinkach czerwonych transportującego tlen w organizmie.

Lek Ferriprox stosuje się:

- w monoterapii, kiedy leczenie standardowymi środkami chelatującymi żelazo nie może być stosowane lub nie działa wystarczająco dobrze;
- w skojarzeniu z innym środkiem chelatującym żelazo wówczas, gdy leczenie z użyciem jednego środka chelatującego żelazo w monoterapii nie działa, albo gdy poziom żelaza musi zostać szybko lub intensywnie skorygowany w celu zapobieżenia wystąpieniu zagrażających życiu chorób (głównie serca).

Substancją czynną zawartą w leku Ferriprox jest deferypron.

Jak stosować lek Ferriprox

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpocząć i prowadzić lekarz z doświadczeniem w leczeniu talasemii. Lek jest dostępny w postaci tabletek (500 mg i 1 000 mg) i roztworu doustnego (100 mg/ml).

Zazwyczaj dawka leku Ferriprox wynosi 25 mg/kg masy ciała trzy razy na dobę. Lekarz może dostosować dawkę leku Ferriprox w zależności od tego, jak dobrze kontrolowany jest poziom żelaza we krwi pacjenta, co należy oceniać co 2-3 miesiące na podstawie badań krwi. Całkowita dawka dobową powinna być mniejsza niż 100 mg na kilogram masy ciała. W przypadku nadmiernego obniżenia poziomu żelaza w organizmie lekarz może przerwać leczenie.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Ferriprox 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

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

An agency of the European Union



Jak działa lek Ferriprox

U pacjentów z talasemią typu major konieczne są częste transfuzje krwi. Wraz z przetoczonymi krwinkami czerwonymi do organizmu wprowadzone zostaje żelazo. W wyniku powtarzanych transfuzji żelazo gromadzi się, gdyż organizm nie ma naturalnego sposobu usuwania nadmiaru żelaza. Z czasem nadmiar żelaza może uszkadzać istotne narządy, np. serce lub wątrobę. Substancja czynna leku Ferriprox, deferypron, jest środkiem chelatującym żelazo. Przyłącza się ona do żelaza w organizmie, tworząc związek, który może być wydalany z organizmu, głównie z moczem i w mniejszym stopniu z kałem. Usuwanie żelaza w ten sposób pomaga korygować przeciążenie żelazem i zapobiegać uszkodzeniom powstałym z powodu jego nadmiaru.

Korzyści ze stosowania leku Ferriprox wykazane w badaniach

Lek Ferriprox badano u 247 pacjentów w wieku powyżej 6 lat z talasemią typu major. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana poziomu ferrytyny we krwi. Poziom ferrytyny we krwi wskazuje na ilość żelaza zgromadzonego w organizmie.

W badaniu głównym z udziałem 71 pacjentów przez ponad 2 lata Ferriprox porównywano z deferoksamina, innym środkiem chelatującym żelazo. Deferoksaminę podawano we wstrzyknięciu podskórnym na noc. Średnie poziomy ferrytyny we krwi były podobne w obu grupach leczenia. Wydaje się jednak, że średnie stężenie żelaza w wątrobie u pacjentów otrzymujących Ferriprox wzrosło bardziej niż u osób przyjmujących deferoksaminę.

W innym badaniu z udziałem 60 pacjentów leczonych przez ponad 12 miesięcy skojarzenie leku Ferriprox i deferoksaminy (Ferriprox podawany przez 5 dni plus deferoksamina podawana przez 2 dni w każdym tygodniu) porównywano z deferoksaminą stosowaną w monoterapii. Poziom ferrytyny we krwi został obniżony w takim samym stopniu u pacjentów otrzymujących skojarzenie leków jak u osób, którym podawano deferoksaminę w monoterapii. W badaniu uczestniczyło zbyt niewiele pacjentów, aby udowodnić, że taki schemat jest równie skuteczny jak deferoksamina w monoterapii.

Ponadto z opublikowanych badań dotyczących leku Ferriprox w skojarzeniu z deferoksaminą wynika, że zastosowanie skojarzenia obu leków spowodowało istotniejsze obniżenie poziomu ferrytyny we krwi niż podanie każdego z tych leków w monoterapii. W opublikowanym badaniu Ferriprox w skojarzeniu z deferoksaminą doprowadził również do istotniejszego zmniejszenia ilości żelaza w sercu, w porównaniu z pacjentami przyjmującymi deferoksaminę w monoterapii.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Ferriprox

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Ferriprox (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to czerwono-brązowe zabarwienie moczu (wskazujące na usuwanie żelaza z moczem), nudności (mdłości), bóle brzucha i wymioty. Mniej powszechne, ale bardziej poważne działanie niepożądane to agranulocytoza (bardzo niski poziom granulocytów, rodzaju krwinek białych) oraz neutropenia (niskie poziomy neutrofilii, rodzaju białych krwinek zwalczających zakażenia).

Leku Ferriprox nie wolno podawać osobom, u których wielokrotnie występowała neutropenia lub agranulocytoza. Leku Ferriprox nie wolno stosować łącznie z lekami mogącymi powodować neutropenię lub agranulocytozę. W trakcie przyjmowania leku Ferriprox należy regularnie kontrolować poziom neutrofilii u pacjentów (w pierwszym roku co tydzień, a następnie rzadziej). W przypadku wystąpienia zakażenia u pacjenta należy tymczasowo przerwać stosowanie leku Ferriprox i częściej sprawdzać poziom neutrofilii. Pacjenci powinni niezwłocznie powiadomić lekarza, jeżeli wystąpią u nich objawy zakażenia, takie jak gorączka, ból gardła i objawy grypopodobne.

Leku Ferriprox nie wolno stosować u kobiet w ciąży lub karmiących piersią.

Pełny wykaz ograniczeń i działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Ferriprox znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Ferriprox w UE

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

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ferriprox

Firma która wprowadza lek Ferriprox do obrotu musi udostępnić pacjentom lub ich opiekunom kartę przypominającą o konieczności regularnego kontrolowania poziomu neutrofilii, potrzebie obserwacji pod kątem objawów zakażenia oraz unikania ciąży u kobiet stosujących lek Ferriprox.

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

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Ferriprox są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Ferriprox są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Ferriprox

Lek Ferriprox otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 25 sierpnia 1999 r.

Dalsze informacje na temat leku Ferriprox znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ferriprox.

Data ostatniej aktualizacji: 09.2019.