



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ferriprox (*deferiprón*)

Prehľad o lieku Ferriprox a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Ferriprox a na čo sa používa?

Liek Ferriprox je tzv. chelátor železa (látka, ktorá sa viaže na železo), ktorý sa používa na liečbu preťaženia železom (nadbytku železa v tele) u pacientov s ťažkou formou talasémie (talasemia major). Ide o dedičné ochorenie, v dôsledku ktorého pacienti nedokážu vytvárať dostatok hemoglobínu, proteínu, ktorý sa nachádza v červených krvinkách prenášajúcich v tele kyslík.

Liek Ferriprox sa používa:

- v monoterapii, ak nemožno použiť štandardnú liečbu chelátorom železa alebo ak takáto liečba dostatočne neúčinkuje,
- v kombinácii s iným chelátorom železa, ak liečba jedným chelátorom železa v monoterapii neúčinkuje, alebo keď je potrebné rýchlo alebo intenzívne regulovať hladinu železa na prevenciu alebo liečbu život ohrozujúcich stavov (najmä postihujúcich srdce).

Liek Ferriprox obsahuje liečivo deferiprón.

Ako sa liek Ferriprox užíva?

Výdaj lieku Ferriprox je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou talasémie. Liek je dostupný vo forme tabliet (500 a 1 000 mg) a perorálneho roztoku (100 mg/ml).

Zvyčajná dávka lieku Ferriprox je 25 mg na kilogram telesnej hmotnosti podávaná trikrát denne. Lekár môže upraviť dávku lieku Ferriprox podľa toho, ako dobre je kontrolovaná hladina železa pacienta, ktorá sa má merať každé 2 až 3 mesiace krvnými testami. Celková dávka na celý deň má byť menšia ako 100 mg na kilogram telesnej hmotnosti. Lekár môže liečbu prerušiť, ak sa hladina železa v tele priveľmi zníži.

Viac informácií o používaní lieku Ferriprox si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnik.

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



Akým spôsobom liek Ferriprox účinkuje?

Pacienti s talasémiou major potrebujú časté krvné transfúzie. Červené krvinky počas transfúzie privádzajú do tela železo. Pri opakovaných transfúziách sa železo hromadí, pretože telo nemá prirodzený spôsob odstraňovania nadmerného železa. Nadbytok železa môže časom poškodiť dôležité orgány, napríklad srdce a pečeň. Liečivo lieku Ferriprox, deferiprón, je tzv. chelátor železa. Tento sa v tele naviaže na železo a vytvorí zlúčeninu, ktorú telo dokáže vylúčiť, a to najmä močom a v menšej miere stolicou. Odstránenie železa týmto spôsobom pomáha korigovať preťaženie železom a zabrániť poškodeniu zapríčinenému nadmerným množstvom železa.

Aké prínosy lieku Ferriprox boli preukázané v štúdiách?

Liek Ferriprox sa skúmal u 247 pacientov s talasémiou major vo veku viac ako 6 rokov. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena hladiny feritínu v krvi pacientov. Hladina feritínu v krvi je ukazovateľom množstva železa uloženého v tele.

V hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 71 pacientov, sa liek Ferriprox porovnával s deferoxamínom, iným chelátorom železa, počas 2 rokov. Deferoxamín sa podáva injekčne pod kožu počas noci. Priemerná hladina feritínu v krvi bola v oboch testovaných skupinách podobná. Zdá sa však, že priemerná koncentrácia železa v pečeni u pacientov, ktorí užívali liek Ferriprox, sa zvýšila viac ako u pacientov, ktorí užívali deferoxamín.

V inej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 60 pacientov liečených počas 12 mesiacov, sa porovnávala kombinácia lieku Ferriprox a deferoxamínu (liek Ferriprox počas 5 dní plus deferoxamín počas 2 dní každý týždeň) s deferoxamínom používaným samostatne. Hladiny feritínu v krvi sa v rovnakom rozsahu znížili u pacientov liečených kombináciou ako s deferoxamínom používaným samostatne. Počet pacientov v štúdii nebol dostatočný na to, aby sa dokázalo, či je takýto režim rovnako účinný ako deferoxamín používaný samostatne.

V uverejnených štúdiách, ktoré sa týkali používania lieku Ferriprox spolu s deferoxamínom, sa uvádzalo väčšie zníženie hladiny feritínu v krvi, ak sa obidva lieky používali v kombinácii v porovnaní s používaním každého lieku samostatne. Podľa uverejnenej štúdie užívanie lieku Ferriprox spolu s deferoxamínom takisto viedlo k väčšiemu zníženiu množstva železa v srdci v porovnaní s pacientmi užívajúcimi deferoxamín samostatne.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Ferriprox?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Ferriprox (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 pacienta z 10) sú červenohnedý moč (ktorý dokazuje vylučovanie železa), nauzea (pocit nevoľnosti), abdominálna bolesť (bolesť žalúdka) a vracanie. Menej časté, avšak závažnejšie vedľajšie účinky sú agranulocytóza (veľmi nízke hladiny granulocytov, typu bielych krviniek) a neutropénia (nízky počet neutrofilov, typu bielych krviniek, ktoré bojujú s infekciami).

Liek Ferriprox sa nesmie používať u osôb, ktoré mali opakovane neutropéniu alebo agranulocytózu. Liek Ferriprox sa nesmie užívať ani spolu s liekmi, ktoré by mohli zapríčiniť neutropéniu alebo agranulocytózu. Pri užívaní lieku Ferriprox sa má počet neutrofilov pacienta pravidelne kontrolovať (každý týždeň počas prvého roka, potom menej často). Ak sa u pacienta vyskytne infekcia, liečba liekom Ferriprox sa má dočasne prerušiť a počet neutrofilov kontrolovať častejšie. Pacienti majú svojho lekára okamžite informovať, ak sa u nich vyskytnú príznaky infekcie, napr. horúčka, bolesť hrdla a príznaky podobné chrípke.

Liek Ferriprox nesmú užívať tehotné ani dojčiace ženy.

Zoznam všetkých obmedzení a všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Ferriprox sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Ferriprox povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Ferriprox sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Ferriprox?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Ferriprox na trh, musí pacientom alebo ich opatrovateľom poskytnúť informačnú kartu o dôležitosti pravidelných testov počtu neutrofilov z dôvodu potreby sledovať symptómy infekcie a u žien aj z dôvodu prevencie tehotnosti počas liečby liekom Ferriprox.

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Ferriprox boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Ferriprox sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Ferriprox sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Ferriprox

Lieku Ferriprox bolo dňa 25. augusta 1999 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Ferriprox sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ferriprox.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 09-2019