



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ferriprox (*deferipron*)

Sammanfattning av Ferriprox och varför det är godkänt inom EU

Vad är Ferriprox och vad används det för?

Den aktiva substansen i Ferriprox är en järnkelatkomplexbildare (en substans som binder till järn). Läkemedlet används för att behandla järnöverskott hos patienter med talassemia major. Detta är en ärftlig sjukdom som innebär att patienterna inte kan producera tillräckligt med hemoglobin, det protein som finns i de röda blodkropparna som transporterar runt syret i kroppen.

Ferriprox används

- som enda behandling i fall där standardbehandling med järnkelatkomplexbildare inte kan ges eller inte fungerar tillräckligt väl,
- i kombination med en annan järnkelatkomplexbildare när behandling med en enda järnkelatkomplexbildare inte fungerar eller när järnnivåerna behöver korrigeras snabbt eller kraftfullt för att förhindra eller behandla livshotande tillstånd (huvudsakligen hjärtrelaterade).

Ferriprox innehåller den aktiva substansen deferipron.

Hur används Ferriprox?

Ferriprox är receptbelagt och behandling ska inledas och följas upp av en läkare med erfarenhet av att behandla talassemi. Det finns som tabletter (500 mg och 1 000 mg) och som oral lösning (100 mg/ml).

Den vanliga dosen Ferriprox är 25 mg per kilogram kroppsvikt tre gånger om dagen. Läkaren kan justera dosen Ferriprox beroende på hur väl patientens järnnivåer kontrolleras, vilket ska mätas varannan till var tredje månad genom blodprov. Den totala dagliga dosen ska vara mindre än 100 mg per kilogram kroppsvikt. Läkaren kan avbryta behandlingen om järnnivåerna blir för låga.

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

Hur verkar Ferriprox?

Patienter med talassemia major behöver ofta blodtransfusioner. Vid transfusionen för de röda blodkropparna med sig järn till kroppen. Vid upprepade blodtransfusioner ansamlas järnet eftersom

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



kroppen inte har något naturligt sätt att göra sig av med järnöverskottet. Med tiden kan järnöverskottet skada viktiga organ som hjärtat och levern. Den aktiva substansen i Ferriprox, deferipron, är en järnkelatkomplexbildare. Den binder till järnet i kroppen och bildar en förening som kan avlägsnas från kroppen, främst i urinen och i mindre utsträckning i avföringen. Att avlägsna järn på detta sätt bidrar till att korrigera järnöverskottet och förhindra skador på grund av överskottet på järn.

Vilka fördelar med Ferriprox har visats i studierna?

Ferriprox undersöktes hos 247 patienter med talassemi major. Patienterna var äldre än 6 år. Huvudeffektåtgärden var förändringen av nivåerna av ferritin i blodet. Mängden ferritin i blodet visar hur mycket järn som finns bundet i kroppen.

I huvudstudien jämfördes Ferriprox med deferoxamin, en annan järnkelatkomplexbildare, hos 71 patienter under en tvåårsperiod. Deferoxamin gavs genom injektion under huden över natten. Medelnivåerna av ferritin i blodet var likartade i de två behandlingsgrupperna. Medelkoncentrationen av järn i levern tycktes emellertid öka mer hos patienter som fick Ferriprox än hos patienter som fick deferoxamin.

I en annan studie med 60 patienter som behandlades under 12 månader jämfördes en kombination av Ferriprox och deferoxamin (fem dagar med Ferriprox plus två dagar med deferoxamin varje vecka) med deferoxamin som enda behandling. Ferritinnivåerna i blodet minskade lika mycket hos de patienter som fick kombinationen som hos dem som enbart fick deferoxamin. Antalet patienter i studien var inte tillräckligt stort för att bevisa om ett sådant schema är lika effektivt som enbart deferoxamin.

Publicerade studier om användning av Ferriprox i kombination med deferoxamin har dessutom visat på en större minskning av ferritinnivåerna i blodet när dessa båda läkemedel användes i kombination, jämfört med då någotdera läkemedel användes ensamt. En av de publicerade studierna visade att patienter som tog Ferriprox i kombination med deferoxamin även uppnådde en större minskning av järnhalterna i hjärtat jämfört med patienter som tog deferoxamin som enda behandling.

Vilka är riskerna med Ferriprox?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Ferriprox (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är rödbrun urin (som visar att järn avlägsnas via urinen), illamående, buksmärtor (magont) och kräkningar. Mindre vanliga men allvarigare biverkningar är agranulocytos (mycket låga nivåer av granulocyter, en typ av vita blodkroppar) och neutropeni (låga halter av neutrofiler, en typ av vita blodkroppar som bekämpar infektioner).

Ferriprox får inte ges till patienter som drabbats av upprepad neutropeni eller agranulocytos. Ferriprox får inte heller ges tillsammans med läkemedel som kan orsaka neutropeni eller agranulocytos. När Ferriprox tas bör patientens antal neutrofiler kontrolleras regelbundet (varje vecka under det första året, sedan mer sällan). Om patienten får en infektion ska behandlingen med Ferriprox avbrytas tillfälligt och halten av neutrofiler kontrolleras oftare. Patienterna ska omedelbart tala med sin läkare om de har infektionssymtom, såsom feber, halsont och influensaliknande symtom.

Ferriprox får inte ges till kvinnor som är gravida eller ammar.

En fullständig förteckning över restriktioner och biverkningar som rapporterats för Ferriprox finns i bipacksedeln.

Varför är Ferriprox godkänt i EU?

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

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

Företaget som marknadsför Ferriprox måste förse patienter eller deras vårdare med ett påminnelsekort om vikten av regelbundna kontroller av halten av neutrofiler, behovet av att vara uppmärksam på infektionssymtom och för kvinnor att undvika att bli gravida under behandlingen med Ferriprox.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Ferriprox har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

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

Mer information om Ferriprox

Den 25 augusti 1999 beviljades Ferriprox ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Ferriprox finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ferriprox.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 09-2019.