



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/349226/2016  
EMEA/H/C/000236

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

# Ferriprox

## deferipronum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Ferriprox. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek používání přípravku Ferriprox.

### Co je Ferriprox?

Ferriprox je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku deferipron. Je k dispozici ve formě tablet (500 a 1 000 mg) a perorálního roztoku (100 mg/ml).

### K čemu se přípravek Ferriprox používá?

Přípravek Ferriprox je „chelátor železa“ (látka, která se váže na železo). Používá se k léčbě zvýšené zátěže železem (přebytku železa v těle) u pacientů s talasemií major. Jedná se o dědičné onemocnění, při kterém tělo pacienta není schopno vytvářet dostatek hemoglobinu, což je bílkovina, která se nachází v červených krvinkách a přenáší v těle kyslík.

Přípravek Ferriprox se používá:

- samostatně, pokud nelze použít léčbu standardním chelátorem železa nebo je taková léčba nedostatečná,
- v kombinaci s jiným chelátorem železa, pokud je léčba jedním chelátorem železa podávaným samostatně neúčinná nebo pokud je při prevenci nebo léčbě život ohrožujícího onemocnění (zejména v případě, že postihuje srdce) nutné rychle nebo výrazně upravit hladinu železa v těle.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.



## Jak se přípravek Ferriprox používá?

Léčba přípravkem Ferriprox by měla být zahájena a vedena lékařem, který má zkušenosti s léčbou pacientů trpících talasemií.

Obvyklá dávka přípravku Ferriprox je 75 mg na kilogram tělesné hmotnosti každý den, přičemž tato dávka se rozdělí na tři dílčí dávky. Z důvodu možného zvýšení rizika nežádoucích účinků se nedoporučuje podávat dávky převyšující 100 mg/kg denně. Pomocí krevních testů by vždy po dvou až třech měsících měla být zjištěna reakce pacienta, na jejímž základě může lékař dávku přípravku Ferriprox upravit. Pokud hladina železa v těle klesne příliš, lékař může léčbu přerušit.

Další informace naleznete v souhrnu údajů o přípravku (rovněž součástí zprávy EPAR).

## Jak přípravek Ferriprox působí?

Pacienti trpící talasemií major potřebují časté krevní transfuze. Pokud pacient podstupuje opakované transfuze, červené krvinky obsažené v transfuzích jsou pro tělo zdrojem železa. Tělo však nemá přirozený způsob odstraňování přebytku železa, takže železo se v těle hromadí. Přebytečné železo může po jisté době poškodit důležité orgány, například srdce nebo játra. Léčivá látka v přípravku Ferriprox, deferipron, je „chelátor železa“. Váže se na železo v těle a vytváří sloučeninu, která může být z těla vyloučena, zejména močí a v menší míře stolicí. Tímto způsobem pomáhá korigovat zvýšenou zátěž železem a zabraňuje poškození orgánů z důvodu přebytku železa.

## Jak byl přípravek Ferriprox zkoumán?

Přípravek Ferriprox byl původně zkoumán ve třech studiích, do kterých bylo zařazeno 247 pacientů starších 6 let trpících talasemií major. Hlavní studie srovnávala po dobu dvou let u 71 pacientů přípravek Ferriprox s deferoxaminem. Jednalo se o „otevřenou“ studii, což znamená, že lékař i pacienti věděli, jaký léčivý přípravek je podáván, neboť přípravek Ferriprox byl podáván ústně, zatímco deferoxamin byl aplikován ve formě podkožní injekce přes noc. Pozdější studie, která u 60 pacientů po dobu 12 měsíců srovnávala střídavou léčbu přípravkem Ferriprox a deferoxaminem (v každém týdnu byl pět dní podáván přípravek Ferriprox a dva dny deferoxamin) s nepřetržitou léčbou samotným deferoxaminem.

Ve všech těchto studiích byla hlavním měřítkem účinnosti změna hladiny feritinu v krvi. Feritin je bílkovina, která v těle ukládá železo. Hladina feritinu v krvi je ukazatelem množství železa uloženého v těle.

Na podporu použití přípravku Ferriprox v kombinaci s jiným chelátorem železa byly navíc předloženy studie u pacientů s talasemií major získané z publikované literatury.

## Jaký přínos přípravku Ferriprox byl prokázán v průběhu studií?

V úvodní studii srovnávající přípravek Ferriprox s deferoxaminem byly průměrné hladiny feritinu v krvi v obou léčených skupinách podobné. Zdálo se však, že průměrná koncentrace železa v játrech pacientů léčených přípravkem Ferriprox se zvýšila více než u pacientů léčených deferoxaminem.

Ve studii se střídavou léčbou se v důsledku léčebného režimu kombinujícího podávání přípravku Ferriprox po dobu pěti dnů a deferoxaminu po dobu dvou dnů snížily hladiny feritinu v krvi stejnou měrou jako při podávání samotného deferoxaminu. Počet pacientů účastnících se studie však nebyl dostatečně vysoký, aby bylo možné prokázat, zda je tato střídavá léčba stejně účinná jako podávání samotného deferoxaminu.

Publikované studie o používání přípravku Ferriprox společně s deferoxaminem uváděly, že při společném podávání těchto přípravků došlo k většímu snížení hladiny feritininu v krvi než při jejich užívání v monoterapii (samostatně). Podle publikované studie vedlo užívání přípravku Ferriprox v kombinaci s deferoxaminem také k výraznějšímu snížení koncentrace železa v srdci než při užívání samotného deferoxaminu.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Ferriprox?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Ferriprox (zaznamenanými u více než 1 pacienta z 10) jsou načervenalá až hnědá moč (což znamená, že se vylučuje železo), nauzea (pocit nevolnosti), bolest břicha a zvracení. Méně časté, ale závažnější nežádoucí účinky jsou agranulocytóza (velmi nízké hladiny granulocytů, což je typ bílých krvinek) a neutropenie (nízké hladiny neutrofilů, což je typ bílých krvinek). Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Ferriprox je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Ferriprox nesmějí užívat osoby, které v minulosti prodělaly opakovaně neutropenii nebo trpěly agranulocytózou. Přípravek Ferriprox se rovněž nesmí užívat společně s léčivými přípravky, které mohou vyvolat neutropenii nebo agranulocytózu. U pacientů, kteří užívají přípravek Ferriprox, je třeba každý týden kontrolovat počet neutrofilů. Pokud se u pacienta vyskytne infekce, je nutné léčbu přípravkem Ferriprox dočasně přerušit a počet neutrofilů kontrolovat častěji. Pacienti by měli okamžitě informovat svého lékaře, pokud zaznamenají příznaky, které by mohly být způsobeny infekcí, jako je např. horečka, bolest v krku a chřipkové příznaky.

Přípravek Ferriprox nesmějí užívat těhotné ani kojící ženy. Úplný seznam omezení v souvislosti s přípravkem Ferriprox je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Ferriprox schválen?**

Výbor CHMP rozhodl, že přínosy přípravku Ferriprox převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Ferriprox?**

Pacientům užívajícím Ferriprox nebo jejich ošetřujícím osobám musí být poskytnuta informační kartička s poučením o bezpečném užívání tohoto léčivého přípravku.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Ferriprox, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci i pacienti.

## **Další informace o přípravku Ferriprox:**

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Ferriprox platné v celé Evropské unii dne 25. srpna 1999.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Ferriprox je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Ferriprox naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 05-2016.