



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR – Sammendrag til offentligheden

Ferriprox

deferipron

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Ferriprox. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om, hvordan Ferriprox skal anvendes.

Hvad er Ferriprox?

Ferriprox er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof deferipron. Det fås som hvide kapselformede tabletter (500 og 1 000 mg) og som oral opløsning (100 mg/ml).

Hvad anvendes Ferriprox til?

Ferriprox er et "jernchelatladdende" stof (et stof, der binder sig til jern). Lægemidlet anvendes til behandling af jernophobning (overskud af jern i kroppen) hos patienter med thalassaemia major. Det er en arvelig sygdom, hvor patienterne ikke er i stand til at danne tilstrækkeligt hæmoglobin, som er det protein i de røde blodlegemer, der transporterer ilt rundt i kroppen.

Ferriprox anvendes:

- alene, når en jernchelatladdende standardbehandling ikke kan anvendes, eller ikke er egnet
- sammen med andre jernchelatladdende midler, når behandling med et jernchelatladdende stof alene ikke virker, eller når forebyggelse eller behandling af livstruende forhold (navnlig hjertelateret) kræver hurtig eller omfattende justering af jernniveauerne.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Hvordan anvendes Ferriprox?

Ferriprox-behandlingen bør indledes og overvåges af en læge, der har erfaring i behandling af patienter med thalassaemia.



Den sædvanlige dosis af Ferriprox er 75 mg pr. kg legemsvægt, som tages hver dag inddelt i tre separate doser. Doser over 100 mg/kg pr. dag frarådes på grund af den mulige øgede risiko for bivirkninger. Lægen kan justere dosen af Ferriprox afhængig af patientens respons, som bør måles hver anden eller tredje måned ved hjælp af blodprøver. Lægen kan afbryde behandlingen, hvis jernniveauet i kroppen bliver for lavt.

Yderligere oplysninger fremgår af produktresuméet, der ligeledes er en del af denne EPAR.

Hvordan virker Ferriprox?

Patienter med thalassaemia major har behov for hyppige blodtransfusioner. Når patienter får gentagne blodtransfusioner, overbringer de overførte røde blodlegemer jern til kroppen. Kroppen har imidlertid ikke en naturlig måde, hvorpå den kan fjerne overskydende jern, så jernet bliver ophobet. Med tiden kan overskud af jern beskadige vitale organer såsom hjerte eller lever. Det aktive stof i Ferriprox, deferipron, er et "jernchelatladdende" stof. Det binder sig til jernet i kroppen og danner en forbindelse, som kan udskilles af kroppen, hovedsageligt i urinen og i mindre grad i afføringen. Dette medvirker til at afhjælpe jernophobningen og forebygge skader på grund af overskud af jern.

Hvordan blev Ferriprox undersøgt?

Ferriprox blev oprindeligt undersøgt i tre undersøgelser af 247 patienter over seks år med thalassaemia major. I hovedundersøgelsen blev Ferriprox sammenlignet med deferoxamin hos 71 patienter over en periode på to år. Undersøgelsen var "åben", hvilket betyder, at lægen og patienterne vidste, hvilke lægemidler patienterne fik, fordi Ferriprox blev taget gennem munden, hvorimod deferoxamin blev taget som injektion under huden i løbet af natten. I en senere undersøgelse sammenlignedes en behandling, der vekslede mellem Ferriprox og deferoxamin (fem dage med Ferriprox plus to dage med deferoxamin hver uge), med en kontinuerlig behandling med deferoxamin alene hos 60 patienter over en periode på 12 måneder.

I alle undersøgelserne var det primære effektmål ændringen i mængden af ferritin i blodet. Ferritin er et protein, der oplagrer jern i kroppen. Mængden af serumferritin viser, hvor meget jern der er lagret i kroppen.

Desuden blev der fremlagt undersøgelser fra den offentliggjorte litteratur af patienter med thalassaemia major til at underbygge anvendelsen af Ferriprox sammen med andre jernchelatladdende stoffer.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Ferriprox?

I den første undersøgelse, hvor Ferriprox blev sammenlignet med deferoxamin, svarede de gennemsnitlige serumferritinmængder til hinanden i de to behandlingsgrupper. Den gennemsnitlige koncentration af jern i leveren hos Ferriprox-behandlede patienter syntes dog at stige mere end hos patienter behandlet med deferoxamin.

I undersøgelsen med vekslende behandling, hvor behandlingen kombinerede Ferriprox i fem dage med deferoxamin i to dage, blev serumferritinmængderne reduceret i samme omfang, som når deferoxamin blev taget alene. Imidlertid var antallet af patienter i undersøgelsen for få til at bevise, hvorvidt en sådan kombineret behandling er lige så effektiv som deferoxamin taget alene.

Offentliggjorte undersøgelser om anvendelsen af Ferriprox sammen med deferoxamin har vist større fald i jernniveauerne, når begge lægemidler blev taget sammen, end når de blev taget hver for sig. I

en offentliggjort undersøgelse førte Ferriprox sammen med deferoxamin også til større fald i jern i hjertet sammenlignet med patienter, der tager deferoxamin alene.

Hvilken risiko er der forbundet med Ferriprox?

De hyppigste bivirkninger ved Ferriprox (som optræder hos flere end 1 ud af 10 patienter) er rødlig-brun urin (der viser, at der bliver udskilt jern), kvalme, mavesmerter og opkastninger. Mindre hyppige men mere alvorlige bivirkninger er agranulocytose (meget lave mængder af granulocytter, en form for hvide blodlegemer) og neutropeni (lave mængder af neutrofiler, en form for hvide blodlegemer). Den fuldstændige liste over de indberettede bivirkninger ved Ferriprox fremgår af indlægssedlen.

Ferriprox må ikke anvendes hos personer, der tidligere gentagne gange har haft neutropeni eller agranulocytose. Ferriprox må heller ikke anvendes sammen med lægemidler, der kan forårsage neutropeni eller agranulocytose. Ved behandling med Ferriprox bør patientens neutrofilantal kontrolleres hver uge. Hvis patienten får en infektion, bør behandlingen med Ferriprox ophøre midlertidigt, og neutrofilantallet kontrolleres oftere. Patienterne skal straks underrette deres læge, hvis de har symptomer, der kan skyldes en infektion, såsom feber, ondt i halsen og influenzalignende symptomer.

Ferriprox må ikke anvendes af kvinder, der er gravide eller ammer. Den fuldstændige liste over begrænsninger ved Ferriprox fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Ferriprox godkendt?

CHMP besluttede, at fordelene ved Ferriprox er større end risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse for Ferriprox.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Ferriprox?

Patienter, der tager Ferriprox, eller deres plejere skal have udleveret et "huskekort", der minder patienten om, hvordan lægemidlet tages på en sikker måde.

I produktresuméet og indlægssedlen er der desuden indføjjet anbefalinger og forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge med henblik på sikker og effektiv anvendelse af Ferriprox.

Andre oplysninger om Ferriprox:

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Ferriprox den 25. august 1999.

Den fuldstændige EPAR for Ferriprox findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Ferriprox, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 05-2016.