



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Ferriprox

Deferipron

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Ferriprox. Hierin wird erläutert, wie der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) das Arzneimittel beurteilt hat, um zu seinem befürwortenden Gutachten zur Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen und seinen Empfehlungen zu den Anwendungsbedingungen für Ferriprox zu gelangen.

Was ist Ferriprox?

Ferriprox ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Deferipron enthält. Es ist als Tabletten (500 mg und 1 000 mg) und als Lösung zum Einnehmen (100 mg/ml) erhältlich.

Wofür wird Ferriprox angewendet?

Ferriprox ist ein „Eisenchelator“ (ein Stoff, der an Eisen bindet), der zur Behandlung einer Eisenüberlast (Eisenüberschuss im Körper) bei Patienten mit Thalassaemia major angewendet wird. Hierbei handelt es sich um eine erbliche Erkrankung, bei der die Patienten nicht in der Lage sind, genügend Hämoglobin – das Protein in den roten Blutkörperchen, das für den Sauerstofftransport im Körper verantwortlich ist – zu produzieren.

Ferriprox wird angewendet:

- als Monotherapie, wenn eine herkömmliche Behandlung mit einem Eisenchelator nicht in Frage kommt oder nicht geeignet ist;
- in Kombination mit einem anderen Eisenchelator, wenn die Behandlung mit einem Eisenchelator allein nicht wirksam ist oder wenn die Verhinderung oder Behandlung lebensbedrohlicher Erkrankungen (hauptsächlich des Herzens) eine rasche oder konzentrierte Korrektur des Eisenspiegels erfordern.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.



Wie wird Ferriprox angewendet?

Die Behandlung mit Ferriprox sollte von einem Arzt eingeleitet und durchgeführt werden, der in der Behandlung von Patienten mit Thalassaemia erfahren ist.

Die übliche Dosis Ferriprox beträgt pro Tag 75 mg je Kilogramm Körpergewicht, verteilt auf drei Einzelgaben. Eine Gesamttagesdosis von mehr als 100 mg/kg ist aufgrund einer potenziell erhöhten Gefahr von Nebenwirkungen nicht empfehlenswert. Je nach Ansprechen des Patienten, das anhand von Blutuntersuchungen alle zwei bis drei Monate kontrolliert werden sollte, kann der Arzt die Ferriprox-Dosis anpassen. Sinkt der Eisenspiegel zu weit ab, kann der Arzt die Behandlung aussetzen.

Weitere Informationen sind der Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels (ebenfalls Teil des EPAR) zu entnehmen.

Wie wirkt Ferriprox?

Patienten mit Thalassaemia major benötigen häufige Bluttransfusionen. Wenn Patienten wiederholt Transfusionen erhalten, gelangt mit den übertragenen roten Blutkörperchen Eisen in den Körper. Da der Körper jedoch überschüssiges Eisen nicht auf natürliche Weise abbauen kann, kommt es zu einer Ansammlung des Eisens. Mit der Zeit kann das überschüssige Eisen wichtige Organe wie das Herz oder die Leber schädigen. Der Wirkstoff in Ferriprox, Deferipron, ist ein sogenannter Eisenchelator. Er bindet an das Eisen im Körper und bildet mit ihm zusammen eine Verbindung, die vom Körper ausgeschieden werden kann. Die Ausscheidung erfolgt hauptsächlich über den Urin und in geringerem Ausmaß über den Stuhl. Dies trägt dazu bei, die Eisenüberlast abzubauen und durch den Eisenüberschuss bedingte Schädigungen zu verhindern.

Wie wurde Ferriprox untersucht?

Ferriprox wurde zunächst in drei Studien mit 247 Patienten im Alter über sechs Jahren mit Thalassaemia major untersucht. In der Hauptstudie wurde Ferriprox mit Deferoxamin bei 71 Patienten über zwei Jahre hinweg verglichen. Es handelte sich dabei um eine „offene“ Studie, d. h., Arzt und Patienten wussten, welches Arzneimittel sie anwendeten, da Ferriprox oral gegeben wird, während Deferoxamin in Form einer Injektion unter die Haut über Nacht verabreicht wird. In einer späteren Studie wurde bei 60 Patienten über 12 Monate hinweg die abwechselnde Behandlung mit Ferriprox und Deferoxamin (fünf Tage Ferriprox plus zwei Tage Deferoxamin jede Woche) mit einer kontinuierlichen Behandlung mit Deferoxamin allein verglichen.

In allen Studien war der Hauptindikator für die Wirksamkeit die Veränderung der Ferritinspiegel im Blut. Ferritin ist ein Protein, das Eisen im Körper speichert. Der Ferritinspiegel im Blut gibt Aufschluss darüber, wie viel Eisen im Körper gespeichert wird.

Darüber hinaus wurden Studien aus der veröffentlichten Fachliteratur bei Patienten mit Thalassaemia major vorgelegt, um die Anwendung von Ferriprox in Kombination mit einem anderen Eisenchelator zu unterstützen.

Welchen Nutzen hat Ferriprox in diesen Studien gezeigt?

In der ersten Studie, bei der Ferriprox mit Deferoxamin verglichen wurde, waren die durchschnittlichen Blutferritinspiegel in den beiden Behandlungsgruppen ähnlich. Die durchschnittliche Eisenkonzentration in der Leber von Patienten, die mit Ferriprox behandelt wurden, schien jedoch stärker anzusteigen als diejenige bei Patienten, die mit Deferoxamin behandelt wurden.

In der Studie mit der abwechselnden Behandlung führte das Behandlungsschema, bei dem Ferriprox über fünf Tage und Deferoxamin über zwei Tage verabreicht wurde, zu einer ebenso starken Senkung der Blutferritinspiegel wie die ausschließliche Verabreichung von Deferoxamin. An der Studie nahmen jedoch nicht genug Patienten teil, um Schlüsse dahingehend zu ziehen, ob ein solches Behandlungsschema ebenso wirksam ist wie die ausschließliche Behandlung mit Deferoxamin.

In veröffentlichten Studien zur Anwendung von Ferriprox zusammen mit Deferoxamin wurde von einer stärkeren Senkung der Blutferritinspiegel berichtet, wenn beide Arzneimittel kombiniert und nicht für sich allein angewendet wurden. In einer veröffentlichten Studie führte Ferriprox zusammen mit Deferoxamin auch zu einer stärkeren Senkung des Eisens im Herzen, verglichen mit Patienten, die Deferoxamin allein einnahmen.

Welches Risiko ist mit Ferriprox verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Ferriprox (beobachtet bei mehr als 1 von 10 Patienten) sind eine rötlich-braune Verfärbung des Urins (ein Zeichen dafür, dass Eisen ausgeschieden wird), Übelkeit, Bauch- bzw. Magenschmerzen und Erbrechen. Weniger häufige, aber schwerwiegendere Nebenwirkungen sind Agranulozytose (sehr niedrige Anzahl an Granulozyten, eine bestimmte Art weißer Blutkörperchen) und Neutropenie (niedrige Anzahl an Neutrophilen, eine bestimmte Art weißer Blutkörperchen). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Ferriprox berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Ferriprox darf nicht bei Patienten angewendet werden, in deren Krankheitsgeschichte wiederholt Fälle von Neutropenie oder von Agranulozytose aufgetreten sind. Ferriprox darf ferner nicht zusammen mit Arzneimitteln angewendet werden, die eine Neutropenie oder Agranulozytose auslösen können. Die Neutrophilenwerte des Patienten sollten bei Einnahme von Ferriprox wöchentlich kontrolliert werden. Zieht sich der Patient eine Infektion zu, sollte die Behandlung mit Ferriprox vorübergehend abgesetzt und die Neutrophilenwerte sollten häufiger kontrolliert werden. Patienten sollten umgehend ihren Arzt informieren, wenn sie Symptome einer Infektion aufweisen, etwa Fieber, Halsschmerzen oder grippeähnliche Symptome.

Ferriprox darf nicht bei Frauen in der Schwangerschaft oder Stillzeit angewendet werden. Die vollständige Auflistung der Einschränkungen im Zusammenhang mit Ferriprox ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Ferriprox zugelassen?

Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Ferriprox gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Ferriprox ergriffen?

Patienten, die Ferriprox einnehmen, bzw. ihren Pflegepersonen ist eine Erinnerungskarte mit Informationen zur sicheren Einnahme des Arzneimittels auszuhändigen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Ferriprox, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden ebenfalls in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Ferriprox

Am 25. August 1999 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Ferriprox in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Ferriprox finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Ferriprox benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 05-2016 aktualisiert.