



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/479312/2016  
EMA/H/C/000236

## Περίληψη EPAR για το κοινό

---

# Ferriprox

## δεφεριπρόνη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Ferriprox. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Ferriprox.

### Τι είναι το Ferriprox;

Το Ferriprox είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία δεφεριπρόνη. Διατίθεται υπό μορφή δισκίων (500 και 1.000 mg) καθώς και πόσιμου διαλύματος (100 mg/ml).

### Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Ferriprox;

Το Ferriprox είναι «χηλικός παράγοντας σιδήρου» (ουσία που προσκολλάται στον σίδηρο) που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της υπερσιδήρωσης (υπερβολική ποσότητα σιδήρου στον οργανισμό) σε ασθενείς με μείζονα θαλασσαιμία. Πρόκειται για μια κληρονομική ασθένεια κατά την οποία οι ασθενείς δεν μπορούν να παράγουν αρκετή αιμοσφαιρίνη, την πρωτεΐνη που υπάρχει στα ερυθρά αιμοσφαίρια και μεταφέρει οξυγόνο στον οργανισμό.

Το Ferriprox χρησιμοποιείται:

- ως μονοθεραπεία, όταν δεν μπορεί να χορηγηθεί ή είναι ανεπαρκής η τυπική θεραπεία με χηλικό παράγοντα σιδήρου,
- σε συνδυασμό με άλλον χηλικό παράγοντα σιδήρου, όταν η μονοθεραπεία με έναν χηλικό παράγοντα σιδήρου είναι αναποτελεσματική ή όταν η πρόληψη ή η θεραπεία παθήσεων απειλητικών για τη ζωή (που επηρεάζουν κυρίως την καρδιά) απαιτούν ταχεία ή εντατική βελτίωση των επιπέδων σιδήρου.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.



## **Πώς χρησιμοποιείται το Ferriprox;**

Η έναρξη και η διατήρηση της θεραπείας με Ferriprox πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό πεπειραμένο στη θεραπεία ασθενών με θαλασσαιμία.

Η συνήθης δόση του Ferriprox είναι 75 mg ανά χιλιόγραμμο σωματικού βάρους την ημέρα, διαιρούμενη σε τρεις ξεχωριστές δόσεις. Δεν συνιστάται η χορήγηση ημερήσιων δόσεων άνω των 100 mg/kg λόγω του δυνητικά αυξημένου κινδύνου εμφάνισης ανεπιθύμητων ενεργειών. Ο γιατρός μπορεί να ρυθμίσει τη δόση του Ferriprox ανάλογα με την ανταπόκριση του ασθενούς, η οποία πρέπει να μετράται κάθε δύο έως τρεις μήνες με εξετάσεις αίματος. Ο γιατρός μπορεί να διακόψει τη θεραπεία εάν μειωθούν υπερβολικά τα επίπεδα σιδήρου στον οργανισμό.

Περισσότερες πληροφορίες περιλαμβάνονται στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος (περιλαμβάνεται επίσης στην EPAR).

## **Πώς δρα το Ferriprox;**

Οι ασθενείς που πάσχουν από μείζονα θαλασσαιμία χρειάζονται συχνές μεταγγίσεις αίματος. Τα ερυθρά κύτταρα που μεταγγίζονται σε ασθενείς οι οποίοι υποβάλλονται σε επαναλαμβανόμενες μεταγγίσεις αίματος φέρουν σίδηρο στον οργανισμό. Ωστόσο, ο οργανισμός δεν διαθέτει την ικανότητα να απομακρύνει με φυσικό τρόπο την περίσσεια σιδήρου, με αποτέλεσμα ο σίδηρος να συσσωρεύεται. Με την πάροδο του χρόνου, η περίσσεια σιδήρου μπορεί να προκαλέσει βλάβες σε σημαντικά όργανα όπως η καρδιά ή το ήπαρ. Η δραστική ουσία του Ferriprox, η δεφεροξαμίνη, είναι ένας «χηλικός παράγοντας σιδήρου». Προσκολλάται στον σίδηρο που υπάρχει στον οργανισμό και σχηματίζει μία ένωση που μπορεί να εκκριθεί από το σώμα, κυρίως μέσω των ούρων και, σε μικρότερο βαθμό, μέσω των κοπράνων. Με τον τρόπο αυτό εξισορροπείται η υπερσιδήρωση και προλαμβάνονται οι βλάβες που οφείλονται στην περίσσεια σιδήρου.

## **Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Ferriprox;**

Το Ferriprox μελετήθηκε αρχικά σε τρεις μελέτες στις οποίες μετείχαν 247 ασθενείς ηλικίας άνω των έξι ετών με μείζονα θαλασσαιμία. Η κύρια μελέτη συνέκρινε το Ferriprox με τη δεφεροξαμίνη σε 71 ασθενείς για χρονικό διάστημα δύο ετών. Η μελέτη ήταν ανοιχτή, γεγονός που σημαίνει ότι ο γιατρός και οι ασθενείς γνώριζαν ποιο φάρμακο χρησιμοποιούσαν, καθώς το Ferriprox χορηγούνταν από το στόμα, ενώ η δεφεροξαμίνη χορηγούνταν με ένεση κάτω από το δέρμα κατά τη διάρκεια της νύχτας. Μια μεταγενέστερη μελέτη συνέκρινε τη θεραπεία εναλλαγής Ferriprox και δεφεροξαμίνης (πέντε ημέρες Ferriprox και δύο ημέρες δεφεροξαμίνη κάθε εβδομάδα) με τη θεραπεία αποκλειστικής χορήγησης δεφεροξαμίνης, σε 60 ασθενείς για χρονικό διάστημα 12 μηνών.

Σε όλες τις μελέτες, βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η αλλαγή των επιπέδων φερριτίνης στο αίμα. Η φερριτίνη είναι μια πρωτεΐνη που αποθηκεύει σίδηρο στον οργανισμό. Τα επίπεδα φερριτίνης υποδεικνύουν την ποσότητα του σιδήρου που αποθηκεύεται στον οργανισμό.

Επιπλέον, προσκομίστηκαν μελέτες από τη δημοσιευμένη βιβλιογραφία σε ασθενείς με μείζονα θαλασσαιμία προς στήριξη της χρήσης του Ferriprox σε συνδυασμό με άλλον χηλικό παράγοντα σιδήρου.

## **Ποιο είναι το όφελος του Ferriprox σύμφωνα με τις μελέτες;**

Στην αρχική μελέτη σύγκρισης του Ferriprox με δεφεροξαμίνη, τα μέσα επίπεδα φερριτίνης ήταν παρόμοια στις δύο ομάδες θεραπείας. Εντούτοις, η μέση συγκέντρωση σιδήρου στο ήπαρ των ασθενών

που έλαβαν Ferriprox φάνηκε να αυξάνεται περισσότερο απ' ότι στους ασθενείς που έλαβαν δεφεροξαμίνη.

Στη μελέτη εναλλαγής θεραπείας, το θεραπευτικό σχήμα συνδυασμού Ferriprox για πέντε ημέρες και δεφεροξαμίνης για δύο ημέρες μείωσε τα επίπεδα φερριτίνης στο αίμα στον ίδιο βαθμό με την δεφεροξαμίνη χορηγούμενη ως μονοθεραπεία. Ωστόσο, ο αριθμός των ασθενών που μετείχαν στη μελέτη ήταν πολύ μικρός για να καταδειχθεί κατά πόσο ένα τέτοιο σχήμα είναι εξίσου αποτελεσματικό με την αποκλειστική χορήγηση δεφεροξαμίνης ή όχι.

Οι δημοσιευμένες μελέτες για τη χρήση του Ferriprox σε συνδυασμό με δεφεροξαμίνη ανέφεραν μεγαλύτερες μειώσεις στα επίπεδα φερριτίνης στο αίμα όταν και τα δύο φάρμακα χρησιμοποιήθηκαν σε συνδυασμό σε σύγκριση με τη μονοθεραπεία με ένα από τα δύο φάρμακα. Σε δημοσιευμένη μελέτη, το Ferriprox σε συνδυασμό με δεφεροξαμίνη οδήγησε επίσης σε μεγαλύτερες μειώσεις του σιδήρου στην καρδιά σε σύγκριση με τους ασθενείς που λάμβαναν μόνο δεφεροξαμίνη.

### **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Ferriprox;**

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Ferriprox (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι ερυθρά/καφέ ούρα (που αποδεικνύουν την αποβολή του σιδήρου), ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), κοιλιακός πόνος (στομαχόπονος) και έμετος. Λιγότερο συχνές αλλά σοβαρότερες ανεπιθύμητες ενέργειες είναι η ακοκκιοκυττάρωση (πολύ χαμηλός αριθμός κοκκιοκυττάρων, ενός τύπου λευκών αιμοσφαιρίων) και η ουδετεροπενία (χαμηλά επίπεδα ουδετερόφιλων, ενός τύπου λευκών αιμοσφαιρίων). Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Ferriprox περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Ferriprox δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που εμφάνισαν επανειλημμένα κατά το παρελθόν ουδετεροφιλία ή ακοκκιοκυττάρωση. Επίσης, το Ferriprox δεν πρέπει να χορηγείται σε συνδυασμό με φάρμακα που ενδέχεται να προκαλέσουν ουδετεροπενία ή ακοκκιοκυττάρωση. Στους ασθενείς που λαμβάνουν Ferriprox πρέπει να ελέγχεται κάθε εβδομάδα ο αριθμός των ουδετερόφιλων. Εάν ο ασθενής προσβληθεί από λοίμωξη, η θεραπεία με Ferriprox πρέπει να διακοπεί προσωρινά και πρέπει να πραγματοποιείται πιο συχνός έλεγχος των ουδετερόφιλων. Οι ασθενείς πρέπει να ενημερώνουν αμέσως τον γιατρό τους στην περίπτωση εμφάνισης συμπτωμάτων που ενδέχεται να οφείλονται σε λοίμωξη, όπως πυρετός, πονόλαιμος και γριπώδη συμπτώματα.

Το Ferriprox δεν πρέπει να χορηγείται σε γυναίκες σε κατάσταση εγκυμοσύνης ή θηλασμού. Ο πλήρης κατάλογος των περιορισμών του Ferriprox περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

### **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Ferriprox;**

Η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του Ferriprox υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

### **Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Ferriprox;**

Στους ασθενείς που λαμβάνουν Ferriprox, ή στα άτομα που τους φροντίζουν, πρέπει να παρέχεται ειδική κάρτα υπενθύμισης με πληροφορίες σχετικά με την ασφαλή λήψη του φαρμάκου.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Ferriprox.

## **Λοιπές πληροφορίες για το Ferriprox**

Στις 25 Αυγούστου 1999 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Ferriprox.

Η πλήρης EPAR του Ferriprox διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Ferriprox, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 05-2016.