



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-yhteenveto

Ferriprox

deferiproni

Tämä on tiivistelmä Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee lääkevalmistetta nimeltä Ferriprox. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon ja suosituksiin Ferriproxin käytön ehdoista.

Mitä Ferriprox on?

Ferriprox on lääke, joka sisältää vaikuttavana aineena deferipronia. Sitä saa tabletteina (500 ja 1 000 mg) ja oraaliuoksena (100 mg/ml).

Mihin Ferriproxia käytetään?

Ferriprox on rautaa kelatoiva aine (rautaan kiinnittyvä aine), jota käytetään raudan liikavarastoitumisen hoitoon talassemia majoria sairastavilla potilailla. Kyseessä on perinnöllinen sairaus, jossa potilaat eivät pysty tuottamaan riittävästi hemoglobiinia, punaisissa verisoluissa olevaa proteiinia, joka kuljettaa happea kehon eri osiin.

Ferriproxia käytetään

- yksinään, kun rautaa kelatoivaa vakiohoitoa ei voida käyttää tai se ei riitä
- yhdessä jonkin toisen rautaa kelatoivan aineen kanssa, kun hoito yhdellä rautaa kelatoivalla aineella ei tehoa tai kun hengenvaarallisten sairauksien (lähinnä sydämeen kohdistuvien) ehkäisy tai hoito vaatii rautapitoisuuden nopeaa tai intensiivistä korjaamista.

Lääkevalmiste on reseptilääke.

Kuinka Ferriproxia käytetään?

Ferriprox-hoito pitäisi aloittaa ja sitä pitäisi jatkaa sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta talassemiaa sairastavien potilaiden hoitamisesta.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Päivittäinen Ferriprox-annos on yleensä 75 mg kehon painokiloa kohden jaettuna kolmeen erilliseen annokseen. Mahdollisten sivuvaikutusten kasvaneen riskin vuoksi 100 mg/kg ylittäviä päivittäisiä annoksia ei suositella. Lääkäri saattaa mukauttaa Ferriprox-annosta suhteessa potilaan vasteeseen, joka mitataan verikokeella 2–3 kuukauden välein. Lääkäri saattaa keskeyttää hoidon, jos kehon rautapitoisuus alenee liikaa.

Lisätietoja on valmisteyhteenvedossa (sisältyy myös EPAR-arviointilausuntoon).

Miten Ferriprox vaikuttaa?

Talassemia majoria sairastaville potilaille on annettava usein verensiirtoja. Kun potilaat saavat toistuvasti verensiirtoja, siirretyt punasolut tuovat rautaa kehoon. Koska kehossa ei kuitenkaan ole luonnollista keinoa poistaa liiallista rautaa, tämä rauta varastoituu kehoon. Ajan myötä liiallinen raudan määrä voi vahingoittaa tärkeitä elimiä, kuten sydäntä tai maksaa. Ferriproxin vaikuttava aine deferiproni on rautaa kelatoiva aine. Se sitoutuu kehossa olevaan rautaan ja muodostaa yhdisteen, jonka keho pystyy erittämään pääasiassa virtsan ja pienemmässä määrin myös ulosteen mukana. Tämä auttaa korjaamaan raudan liikavarastoitumista sekä estämään liiallisesta raudan määrästä aiheutuvia vaurioita.

Miten Ferriproxia on tutkittu?

Ferriproxiaa tutkittiin alun perin kolmessa tutkimuksessa, joihin osallistui 247 yli kuuden vuoden ikäistä talassemia majoria sairastavaa potilasta. Niistä päätutkimuksessa Ferriproxiaa verrattiin deferoksamiiniin 71 potilaalla kahden vuoden ajan. Tutkimus oli avoin eli sekä lääkäri että potilas tiesivät, mitä lääkettä käytettiin, koska Ferriproxia annettiin suun kautta, kun taas deferoksamiinia annettiin yön aikana injektiona ihon alle. Myöhemmin 60 potilaalla tehdyssä tutkimuksessa vertailtiin 12 kuukauden ajan hoitoa, jossa Ferriproxia ja deferoksamiinia annettiin vaihdellen (viisi päivää Ferriproxia ja kaksi päivää deferoksamiinia joka viikko), hoitoon, jossa annettiin koko ajan pelkästään deferoksamiinia.

Kaikissa tutkimuksissa tehon pääasiallisena mittana oli veren ferritiinipitoisuuden muutos. Ferritiini on veressä oleva rautaa varastoiva proteiini. Veren ferritiinipitoisuus ilmaisee, kuinka paljon kehoon varastoituu rautaa.

Lisäksi toimitettiin julkaistusta kirjallisuudesta saatuja talassemia majoria sairastavilla potilailla tehtyjä tutkimuksia tukemaan Ferriproxin käyttöä yhdessä toisen rautaa kelatoivan aineen kanssa.

Mitä hyötyä Ferriproxista on havaittu tutkimuksissa?

Ensimmäisessä tutkimuksessa, jossa Ferriproxiaa verrattiin deferoksamiiniin, veren keskimääräiset ferritiinipitoisuudet olivat samanlaiset kummassakin hoitoryhmässä. Ferriproxilla hoidettujen potilaiden maksan keskimääräinen rautapitoisuus näytti kuitenkin kasvavan enemmän kuin deferoksamiinilla hoidettujen potilaiden.

Vaihteluhoitotutkimuksessa, jossa yhdistettiin viitenä päivänä annettava Ferriprox kahtena päivänä annettavaan deferoksamiiniin, veren ferritiinipitoisuus laski samalle tasolle kuin pelkkää deferoksamiinia käytettäessä. Tutkimukseen osallistui kuitenkin liian vähän potilaita sen osoittamiseksi, onko tällainen hoitomalli yhtä tehokas kuin pelkkä deferoksamiinihoito.

Julkaistuissa tutkimuksissa Ferriproxin käytöstä yhdessä deferoksamiinin kanssa raportoitiin suuremmasta raudan ferritiinipitoisuuden alenemisesta käytettäessä molempia lääkkeitä yhdessä verrattuna siihen, että jompaakumpaa lääkettä käytettiin yksinään. Eräessä julkaistussa tutkimuksessa

Ferriproxin käyttö yhdessä deferoksamiinin kanssa johti myös suurempaan sydämen rautapitoisuuden vähenemiseen kuin pelkän deferoksamiinin käyttö.

Mitä riskejä Ferriproxiin liittyy?

Ferriproxin yleisimmät sivuvaikutukset (useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) ovat punertavanruskea virtsa (osoitus raudan poistumisesta), pahoinvointi, mahakivut sekä oksentelu. Harvinaisempia mutta vakavampia sivuvaikutuksia ovat agranulosytoosi (hyvin alhainen granulosyyttien eli jyväsolutjen määrä; jyväsolut ovat eräänäntyyppisiä valkoisia verisoluja) ja neutropenia (neutrofiilien, eräänäntyyppisten valkosolujen, alhainen määrä). Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Ferriproxin ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Ferriproxia eivät saa käyttää potilaat, joilla on aiemmin ollut agranulosytoosi tai toistuva neutropenia. Ferriproxia ei saa myöskään käyttää yhdessä sellaisten lääkkeiden kanssa, jotka saattavat aiheuttaa neutropeniaa tai agranulosytoosia. Ferriproxia käytettäessä potilaan neutrofiilimäärä on tarkistettava viikoittain. Jos potilas saa infektion, Ferriprox-hoito on lopetettava väliaikaisesti ja neutrofiilien määrä on tarkistettava useammin. Potilaan on kerrottava heti lääkärille, jos hänellä on oireita, jotka voivat johtua infektiosta, kuten kuume, kipeä kurkku ja flunssankaltaiset oireet.

Ferriproxia ei saa antaa raskaana oleville tai imettäville naisille. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Ferriproxiin liittyvistä rajoituksista.

Miksi Ferriprox on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea katsoi Ferriproxin hyödyn ylittävän sen riskit ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Miten voidaan varmistaa Ferriproxin turvallinen ja tehokas käyttö?

Ferriproxia ottaville potilaille tai heidän hoitajilleen on annettava kortti, jolla potilaalle kerrotaan, miten lääkettä otetaan turvallisesti.

Ferriproxiin turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettavaksi.

Muita tietoja Ferriproxista

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionissa voimassa olevan myyntiluvan Ferriproxille 25. elokuuta 1999.

Ferriprox-valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lisätietoja Ferriprox-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon) tai lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 05-2016.