



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Ferriprox

deferipron

Ez a dokumentum a Ferriprox-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Ferriprox alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Ferriprox?

A Ferriprox egy deferipron nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Tabletta (500 és 1000 mg) és belsőleges oldat (100 mg/ml) formájában kerül forgalomba.

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Ferriprox?

A Ferriprox vaskelátor (a vashoz kötődő anyag), amelyet súlyos thalassaemiában szenvedő betegek vastülszövetterhelésének (túl sok vas jelenléte a szervezetben) kezelésére alkalmaznak. Ez egy olyan örökletes betegség, amelynek során a betegek szervezete nem képes elegendő mennyiségű hemoglobint termelni, amely a vörösvérsejtekben található, az oxigént a szervezetben szállító fehérje.

A Ferriprox-ot az alábbi módokon alkalmazzák:

- önmagában, amikor a szokványos vaskelátor-kezelés nem alkalmazható vagy nem megfelelő;
- más vaskelátorral kombinálva, amikor az önmagában alkalmazott egyik vaskelátor nem hatásos, illetve amikor az életveszélyes betegségek (főként a szívét érintők) megelőzéséhez vagy kezeléséhez a vér vasszintjének gyors vagy intenzív korrigálására van szükség.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Ferriprox-ot?

A Ferriprox-kezelést a thalassaemiában szenvedő betegek kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie és végeznie.

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



A Ferriprox szokásos adagja naponta 75 mg testtömeg-kilogrammonként, három, külön adagban alkalmazva. A napi 100 mg/kg-ot meghaladó adagok alkalmazása nem ajánlott a mellékhatások kockázatának lehetséges megnövekedése miatt. Az orvos a Ferriprox adagját a beteg által a kezelésre adott, vérvizsgálattal kettő-három havonta mért gyógyszerválasztól függően módosíthatja. Az orvos a kezelést megszakíthatja, ha a szervezetben a vas szintje túl alacsonyra csökken.

További információ a (szintén az EPAR részét képező) alkalmazási előírásban található.

Hogyan fejti ki hatását a Ferriprox?

A súlyos thalassaemiában szenvedő betegeknek gyakran van szükségük vérátömlesztésre. Amikor a betegek ismételt vérátömlesztésben részesülnek, az átömlesztett vörösvérsejtekkel vasat kapnak. Nincs azonban természetes útja annak, hogy a felesleges vasmennyiség eltávozzon a szervezetből, így az felhalmozódik. Idővel a vasfelesleg károsíthatja a létfontosságú szerveket, például a szívet vagy a májat. A Ferriprox hatóanyaga, a deferipron, egy „vaskelát-képző”. A szervezetben a vashoz kötődve egy olyan vegyületet képez, amely már képes kiürülni a szervezetből, főként a vizelettel, illetve kisebb mértékben a széklettel. Ez segít megszüntetni a vastúlterhelést és megelőzni a fölösleges vasmennyiség miatti károsodást.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Ferriprox-ot?

A Ferriprox-ot eredetileg három vizsgálatban, 247, hat évnél idősebb, súlyos thalassaemiában szenvedő betegnél tanulmányozták, ezen belül a fő vizsgálatban a Ferriprox-ot 71 betegnél deferoxaminnal hasonlították össze két éven keresztül. A vizsgálat „nyílt” volt, ami azt jelenti, hogy az orvos és a betegek is tudták, hogy melyik gyógyszert alkalmazzák, mivel a Ferriprox-ot szájon át adták, míg a deferoxamint bőr alá adott injekcióban éjszaka alkalmazták. Egy későbbi vizsgálatban a Ferriprox-szal és a deferoxaminnal váltakozva végzett kezelést (hetente öt nap Ferriprox és két nap deferoxamin) hasonlították össze a folyamatos deferoxamin monoterápiával 60 betegnél, 12 hónapon keresztül.

Valamennyi vizsgálatban a hatásosság fő mértéke a vér ferritin-tartalmának a változása volt. A ferritin egy olyan fehérje, amely vasat tárol a szervezetben. A vér ferritin-szintje a szervezetben tárolt vas mennyiségét jelzi.

Ezenfelül a súlyos thalassaemiában szenvedő betegek kezeléséhez kapcsolódóan kiadott szakirodalomból származó vizsgálatokat nyújtottak be a Ferriprox másik vaskelátorral kombinált alkalmazásának az igazolására.

Milyen előnyei voltak a Ferriprox alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Ferriprox-ot deferoxaminnal összehasonlító kezdeti vizsgálatban az átlagos ferritin szintek hasonlóak voltak a két kezelési csoportban. A Ferriprox-szal kezelt betegeknél azonban úgy tűnt, hogy az átlagos vaskoncentráció a májban jobban megnőtt, mint a deferoxaminnal kezelt betegek esetében.

A váltakozó kezeléssel végzett vizsgálatban az ötnapos Ferriprox kezelés a kétnapos deferoxamin kezeléssel kombinálva ugyanolyan mértékben csökkentette a ferritin szinteket, mint az önmagában alkalmazott deferoxamin. A vizsgálatban részt vevő betegek száma azonban nem volt elegendő annak igazolására, hogy egy ilyen adagolási séma ugyanolyan hatásos-e, mint az önmagában alkalmazott deferoxamin.

A deferoxaminnal kombinált Ferriprox alkalmazására irányuló kiadott vizsgálatok a vér ferritin szintjének jelentősebb csökkenéséről számoltak be a kombináció alkalmazása esetén, mint az egyes

gyógyszerek önálló alkalmazása során. Az egyik kiadott vizsgálatban a deferroxaminnal kombinált Ferriprox jelentősebb mértékben csökkentette a vas mennyiségét a szívben, mint az önmagában alkalmazott deferroxamin.

Milyen kockázatokkal jár a Ferriprox alkalmazása?

A Ferriprox leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkeznek) a vörösesbarna vizelet (ami a vas kiürülését mutatja), émelygés, hasi fájdalom és a hányás. Kevésbé gyakori, de súlyosabb mellékhatások az agranulocitózis (az egyik fehérvérsejt-típus, a granulociták nagyon alacsony szintje) és neutropénia (az egyik fehérvérsejt-típus, a neutrofilek alacsony szintje). A Ferriprox alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Ferriprox nem alkalmazható olyan személyeknél, akiknél előzőleg ismételt neutropénia jelentkezett, illetve agranulocitózis esetén. A Ferriprox nem adható együtt olyan gyógyszerekkel sem, amelyek neutropéniát vagy agranulocitózist okozhatnak. A Ferriprox alkalmazása során a beteg neutrofilszámát minden héten ellenőrizni kell. Ha a beteg fertőzést kap, a Ferriprox-kezelést ideiglenesen fel kell függeszteni, és a neutrofilszámot gyakrabban kell ellenőrizni. A betegeknek azonnal közölniük kell orvosukkal, ha fertőzés tüneteit érzékelik, mint például láz, torokfájás és influenzaszerű tünetek.

A Ferriprox nem adható terhes nőknek, illetve szoptató anyáknak. A Ferriprox alkalmazásával kapcsolatos korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Ferriprox forgalomba hozatalát?

A CHMP megállapította, hogy a Ferriprox alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Ferriprox biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Ferriprox-ot szedő betegeknek vagy ápolóiknak egy emlékeztető kártyát kell adni, amelyen szerepel, hogyan kell a gyógyszert biztonságosan szedni.

Az alkalmazási előírás és a betegtájékoztató a Ferriprox biztonságos és hatékony alkalmazásával kapcsolatos, az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlásokat és óvintézkedéseket is tartalmaz.

A Ferriprox-szal kapcsolatos egyéb információ

1999. augusztus 25-én az Európai Bizottság a Ferriprox-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Ferriprox-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Amennyiben a Ferriprox-szal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 05-2016.