



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Ferriprox

deferiprons

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Ferriprox*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu atzinumu par reģistrācijas apliecības piešķiršanu un ieteikumus par *Ferriprox* lietošanu.

Kas ir *Ferriprox*?

Ferriprox ir zāles, kas satur aktīvo vielu deferipronu. Tās ir pieejamas kā tabletes (1 000 mg) un kā šķīdums iekšķīgai lietošanai (100 mg/ml).

Kāpēc lieto *Ferriprox*?

Ferriprox ir "dzelzs helators" (viela, kas sasaistās ar dzelzi), ko lieto pārmērīga dzelzs daudzuma organismā samazināšanai pacientiem ar smagu talasēmiju (*thalasemia major*). Tā ir iedzimta slimība, kad pacientu organismā neveidojas pietiekami daudz hemoglobīna — eritrocītos atrodamas olbaltumvielas, kas organismā piegādā skābekli.

Ferriprox lieto:

- vienu pašu, ja nav iespējams veikt standarta terapiju ar dzelzs helatoru vai tā nav piemērota;
- kopā ar citu dzelzs helatoru, ja terapija ar tikai vienu dzelzs helatoru nav efektīva vai ja dzīvībai bīstama stāvokļa (kas galvenokārt skar sirdi) novēršanai vai terapijai nepieciešams strauji vai intensīvi mainīt dzelzs līmeni asinīs.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Ferriprox*?

Ferriprox terapiju drīkst sākt un turpināt ārsts, kuram ir pieredze talasēmijas pacientu ārstēšanā.



Parastā *Ferriprox* dienas deva ir 75 mg uz ķermeņa svara kilogramu, sadalot zāles trīs atsevišķās devās. Devas virs 100 mg/kg dienā nav ieteicamas, jo pieaug potenciālo blakusparādību risks. Ārsts var koriģēt *Ferriprox* devu, ņemot vērā pacienta reakciju, kas jānosaka ar asins analīzēm ik pa diviem līdz trim mēnešiem. Ārsts var pārtraukt terapiju, ja dzelzs līmenis asinīs kļūst pārāk zems.

Plašāka informācija atrodama zāļu instrukcijā (kas arī ir *EPAR* daļa).

Kā *Ferriprox* darbojas?

Pacientiem ar smagu talasēmiju ir nepieciešama bieža asins pārlišana. Kad pacientiem asinis pārlej atkārtoti, eritrocīti apgādā organismu ar dzelzi. Tomēr organismam nav dabiska veida, kā atbrīvoties no liekā dzelzs daudzuma, tādēļ tas uzkrājas. Laika gaitā liekais dzelzs daudzums var bojāt svarīgus orgānus, piemēram, sirdi vai aknas. *Ferriprox* aktīvā viela deferiprons ir dzelzs helators. Tas piesaistās organismā esošajai dzelzij, veidojot savienojumu, ko organisms var izdalīt galvenokārt urīnā un mazākā mērā izkārnījumos. Tas palīdz koriģēt pārmērīgo dzelzs daudzumu un novērst bojājumus, ko izraisa palielināts dzelzs daudzums.

Kā noritēja *Ferriprox* izpēte?

Sākotnēji *Ferriprox* iedarbību pētīja trijos pētījumos, iesaistot 247 smagas talasēmijas pacientus, kas vecāki par sešiem gadiem. Pamattējumā *Ferriprox* salīdzināja ar deferoksamīnu, divus gadus pētot 71 pacientu. Pētījums bija „atklāts”, kas nozīmē, ka ārsts un pacienti zināja, kuras zāles lieto, jo *Ferriprox* lietoja perorāli, turpretim deferoksamīnu ievadīja infūzijas veidā visu nakti. Vēlākā pētījumā, iesaistot 60 pacientus 12 mēnešus, salīdzināja terapiju, kurā pārmaiņus lieto *Ferriprox* un deferoksamīnu (katru nedēļu piecas dienas *Ferriprox* un divas dienas deferoksamīnu), ar nepārtrauktu deferoksamīna terapiju, lietojot tās vienas pašas.

Visos pētījumos galvenais iedarbīguma rādītājs bija feritīna līmeņa izmaiņas asinīs. Feritīns ir olbaltumviela, kas organismā uzkrāj dzelzi. Feritīna līmenis asinīs norāda uz organismā uzkrāto dzelzs daudzumu.

Papildus tika nodrošināti tādi publicētās literatūras pētījumi pacientiem ar smagu talasēmiju, kas atbalsta *Ferriprox* lietošanu kombinācijā ar citu dzelzs helatoru.

Kādas ir *Ferriprox* priekšrocības šajos pētījumos?

Sākotnējā pētījumā *Ferriprox* tika salīdzinātas ar deferoksamīnu, un vidējais feritīna līmenis asinīs bija līdzīgs abās terapijas grupās. Taču vidējā dzelzs koncentrācija aknās pacientiem, kurus ārstēja ar *Ferriprox*, šķita palielināties vairāk nekā pacientiem, kurus ārstēja ar deferoksamīnu.

Pārmaiņus lietotu zāļu pētījumā, ārstēšanas plānā apvienojot *Ferriprox* (lietotas piecas dienas) ar deferoksamīnu (lietots divas dienas), feritīna līmenis asinīs samazinājās tādā pašā apmērā kā lietojot deferoksamīnu vienu pašu. Tomēr pētījumā iesaistīto pacientu skaits nebija pietiekams, lai pierādītu, ka šāda ārstēšanas shēma ir vai nav tikpat iedarbīga kā deferoksamīna viena paša lietošana.

Publicētajos pētījumos par *Ferriprox* lietošanu kopā ar deferoksamīnu tika ziņots, ka feritīna līmenis asinīs samazinājās vairāk, lietojot abu zāļu kombināciju, nekā tad, ja lietoja vienu no zālēm atsevišķi. Publicētā pētījumā arī tika ziņots, ka *Ferriprox* kopā ar deferoksamīnu arī vairāk samazināja dzelzs līmeni sirdī salīdzinājumā ar pacientiem, kuri lietoja tikai deferoksamīnu.

Kāds risks pastāv, lietojot *Ferriprox*?

Visizplatītākās *Ferriprox* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir sarkanīgi brūns urīns (kas liecina, ka dzelzs tiek izvadīta), slikta dūša, vēdergrauzes un vemšana. Retākas, taču nopietnākas blakusparādības ir agranulocitoze (ļoti zems granulocītu (leikocītu veids) līmenis) un neitropēnija (zems neitrofilu (leikocītu veida) līmenis). Pilns visu *Ferriprox* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Ferriprox nedrīkst lietot cilvēki, kuriem iepriekš ir atkārtoti bijusi neitropēnija vai agranulocitoze. Tāpat *Ferriprox* nedrīkst lietot kopā ar zālēm, kas varētu izraisīt neitropēniju vai agranulocitozi. Lietojot *Ferriprox*, katru nedēļu jāpārbauda pacienta neitrofilu skaits. Ja pacients inficējas, ārstēšana ar *Ferriprox* īslaicīgi jāpārtrauc un biežāk jāpārbauda neitrofilu skaits. Pacienti nekavējoties jāinformē ārsts, ja viņiem ir simptomi, ko, iespējams, radījusi infekcija, piemēram drudzis, iekaisis kakls un gripai līdzīgi simptomi.

Ferriprox nedrīkst lietot sievietēm, kurām iestājusies grūtniecība vai kuras baro bērnu ar krūti. Pilns *Ferriprox* ierobežojumu saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Ferriprox* tika apstiprinātas?

CHMP nolēma, ka pacienta ieguvums, lietojot *Ferriprox*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu un efektīvu *Ferriprox* lietošanu?

Pacientiem, kuri lieto *Ferriprox*, vai viņu aprūpētājiem jāizsniedz atgādinājuma karte, kurā sniegta informācija par šo zāļu drošu lietošanu.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā ir ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem nekaitīgas un efektīvas *Ferriprox* lietošanas nolūkos.

Cita informācija par *Ferriprox*

Eiropas Komisija 1999. gada 25. augustā izsniedza *Ferriprox* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Ferriprox* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Ferriprox* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 5.2016.