



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR-samenvatting voor het publiek

---

# Ferriprox

deferipron

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Ferriprox. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van Ferriprox vast te stellen.

## Wat is Ferriprox?

Ferriprox is een geneesmiddel dat de werkzame stof deferipron bevat. Het is verkrijgbaar in de vorm van tabletten (500 en 1 000 mg) en een drank (100 mg/ml).

## Wanneer wordt Ferriprox voorgeschreven?

Ferriprox is een 'ijzerchelator' (een stof die zich aan ijzer hecht) en wordt gebruikt voor de behandeling van ijzerstapeling (een overschot aan ijzer in het lichaam) bij patiënten met thalassaemia major. Dit is een erfelijke ziekte waarbij patiënten niet in staat zijn voldoende hemoglobine aan te maken, het eiwit dat in rode bloedcellen wordt aangetroffen en dat zuurstof in het lichaam transporteert.

Ferriprox wordt gebruikt:

- op zichzelf, wanneer een standaardbehandeling met een ijzerchelator niet kan worden toegepast of ontoereikend is;
- in combinatie met een andere ijzerchelator, wanneer een behandeling met één enkele ijzerchelator niet doeltreffend is of preventie of behandeling van levensbedreigende aandoeningen (die voornamelijk het hart treffen) een snelle of intensieve correctie van het ijzergehalte noodzakelijk maakt.

Dit middel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.



## Hoe wordt Ferriprox gebruikt?

Behandeling met Ferriprox moet worden ingesteld en voortgezet door een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met thalassaemia.

De gebruikelijke dosering Ferriprox is 75 mg per kg lichaamsgewicht per dag verdeeld over drie afzonderlijke doses. Doseringen hoger dan 100 mg/kg per dag worden niet aanbevolen wegens een potentieel verhoogd risico op bijwerkingen. De arts kan de dosis Ferriprox na verloop van tijd aanpassen naargelang de respons van de patiënt, die om de twee à drie maanden met bloedtests gemeten zou moeten worden. De arts kan de behandeling onderbreken als het ijzergehalte in het lichaam te laag wordt.

Raadpleeg voor meer informatie de samenvatting van de productkenmerken (ook onderdeel van het EPAR).

## Hoe werkt Ferriprox?

Patiënten met thalassaemia major hebben vaak bloedtransfusies nodig. Wanneer patiënten herhaalde transfusies krijgen, brengen de met de transfusie ingebrachte rode bloedcellen ijzer in het lichaam. Het lichaam beschikt echter niet over een natuurlijke manier om een teveel aan ijzer te verwijderen zodat er ijzerstapeling optreedt. In de loop van de tijd kan de overmaat aan ijzer belangrijke organen als hart of lever beschadigen. De werkzame stof in Ferriprox, deferipron, is een 'ijzerchelator'. Het hecht zich aan het ijzer in het lichaam en vormt zo een verbinding die door het lichaam kan worden uitgescheiden, voornamelijk in de urine en in mindere mate in de ontlasting. Dit draagt ertoe bij dat de ijzerstapeling wordt gecorrigeerd en beschadiging als gevolg van een overmaat aan ijzer wordt voorkomen.

## Hoe is Ferriprox onderzocht?

Ferriprox is oorspronkelijk bestudeerd in drie onderzoeken waaraan 247 patiënten ouder dan zes jaar met thalassaemia major deelnamen. In het belangrijkste onderzoek werd Ferriprox twee jaar lang bij 71 patiënten vergeleken met deferoxamine. Het onderzoek was een 'open-label'-onderzoek, dat wil zeggen dat arts en patiënten wisten welk geneesmiddel werd gebruikt, omdat Ferriprox via de mond wordt toegediend en deferoxamine 's nachts door een onderhuidse injectie wordt toegediend. In een later onderzoek werd bij 60 patiënten gedurende 12 maanden een continue behandeling met alleen deferoxamine vergeleken met een behandeling waarbij afwisselend Ferriprox en deferoxamine (vijf dagen Ferriprox plus twee dagen deferoxamine elke week) werden toegediend.

In alle studies was de voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid de verandering in de ferritinespiegel in het bloed. Ferritine is een eiwit dat ijzer in het lichaam opslaat. De ferritinespiegel in het bloed geeft aan hoeveel ijzer in het lichaam wordt opgeslagen.

Daarnaast werden studies uit de vakliteratuur overgelegd inzake patiënten met thalassaemia major als ondersteuning van het gebruik van Ferriprox in combinatie met een andere ijzerchelator.

## Welke voordelen bleek Ferriprox tijdens de studies te hebben?

In de eerste studie waarin Ferriprox vergeleken werd met deferoxamine, waren de gemiddelde bloedferritinespiegels vergelijkbaar in de twee behandelgroepen. De gemiddelde ijzerconcentratie in de lever van met Ferriprox behandelde patiënten leek echter meer toe te nemen dan bij de met deferoxamine behandelde patiënten.

In het onderzoek naar de afwisselende behandeling werden met het behandelingschema waarin Ferriprox gedurende vijf dagen werd gecombineerd met deferoxamine gedurende twee dagen de ferritinespiegels in dezelfde mate verlaagd als met alleen deferoxamine. Het aantal patiënten dat aan het onderzoek deelnam, was echter niet groot genoeg om te bewijzen dat een dergelijk schema even goed werkt als de toepassing van alleen deferoxamine.

In gepubliceerde studies naar het gebruik van Ferriprox samen met deferoxamine werd melding gemaakt van sterkere dalingen van het ferritinegehalte in het bloed wanneer beide geneesmiddelen gecombineerd werden gebruikt, dan wanneer uitsluitend het ene of het andere geneesmiddel werd gebruikt. In één gepubliceerde studie resulteerde het gebruik van Ferriprox samen met deferoxamine eveneens in een sterkere daling van het ijzer in het hart dan bij patiënten die uitsluitend deferoxamine gebruikten.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Ferriprox in?**

De meest voorkomende bijwerkingen van Ferriprox (waargenomen bij meer dan 1 op de 10 patiënten) zijn roodbruine urine (waaruit blijkt dat er ijzer wordt uitgescheiden), misselijkheid, buikpijn en braken. Minder vaak voorkomende, maar wel ernstigere bijwerkingen zijn agranulocytose (zeer lage aantallen granulocyten, een bepaald type witte bloedcel) en neutropenie (lage aantallen neutrofielen, een ander type witte bloedcel). Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Ferriprox.

Ferriprox mag niet worden voorgeschreven aan mensen die voordien herhaaldelijk aan neutropenie of agranulocytose hebben geleden. Ferriprox mag evenmin worden gebruikt in combinatie met geneesmiddelen die neutropenie of agranulocytose kunnen veroorzaken. Wanneer Ferriprox wordt ingenomen, moet de concentratie neutrofielen van de patiënt iedere week worden gecontroleerd. Indien de patiënt een infectie oploopt, dient de behandeling met Ferriprox tijdelijk te worden stopgezet en de concentratie neutrofielen vaker te worden gecontroleerd. Patiënten moeten het hun arts onmiddellijk melden als zij symptomen vaststellen die wellicht aan een infectie te wijten zijn, zoals koorts, keelpijn en griepachtige verschijnselen.

Ferriprox mag niet worden toegediend aan vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven. Zie de bijsluiters voor de volledige beschrijving van de beperkende voorwaarden van Ferriprox.

## **Waarom is Ferriprox goedgekeurd?**

Het CHMP heeft geconcludeerd dat de voordelen van Ferriprox groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van dit middel.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Ferriprox te waarborgen?**

Patiënten die Ferriprox gebruiken, of hun verzorgers, moeten een kaart krijgen waarop staat hoe de patiënt het geneesmiddel veilig kan innemen.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Ferriprox zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiters.

## Overige informatie over Ferriprox

De Europese Commissie heeft op 25 augustus 1999 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Ferriprox verleend.

Het volledige EPAR voor Ferriprox is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker, als u meer informatie nodig hebt over de behandeling met Ferriprox.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 05-2016.