



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

# Ferriprox

## deferypron

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Ferriprox. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Ferriprox do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania leku.

### Co to jest Ferriprox?

Ferriprox jest lekiem zawierającym substancję czynną deferypron. Produkt jest dostępny w postaci tabletek (500 i 1 000 mg) oraz w postaci roztworu doustnego (100 mg/ml).

### W jakim celu stosuje się produkt Ferriprox?

Ferriprox jest środkiem chelatującym żelazo (substancją wiążącą się z żelazem), stosowanym w leczeniu przeładowania żelazem (nadmiaru żelaza w organizmie) u pacjentów z talasemią major. Jest to choroba dziedziczna, w której pacjenci nie są w stanie wytwarzać wystarczającej ilości hemoglobiny – występującego w krwinkach czerwonych białka, które przenosi tlen w organizmie.

Ferriprox stosuje się:

- w monoterapii, kiedy nie można zastosować leczenia standardowym środkiem chelatującym żelazo lub gdy jest ono niewystarczające;
- w skojarzeniu z inną substancją chelatującą żelazo, gdy leczenie jedną taką substancją w monoterapii jest nieskuteczne lub gdy zapobieganie schorzeniom zagrażającym życiu (głównie w obrębie serca) lub ich leczenie wymaga szybkiego lub intensywnego skorygowania poziomów żelaza.

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.



## **Jak stosować produkt Ferriprox?**

Leczenie produktem Ferriprox powinien rozpocząć i prowadzić lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z talasemią.

Ferriprox podaje się zazwyczaj w dawce 75 mg na kilogram masy ciała na dobę, podzielonej na trzy oddzielne dawki. Nie zaleca się stosowania dawek powyżej 100 mg/kg na dobę ze względu na potencjalnie podwyższone ryzyko wystąpienia działań niepożądanych. Lekarz może dostosować dawkę produktu Ferriprox w zależności od odpowiedzi pacjenta, którą należy mierzyć co 2 do 3 miesiące za pomocą badań krwi. Lekarz może przerwać leczenie, jeżeli poziom żelaza w organizmie zanadto się obniży.

Więcej informacji znajduje się w charakterystyce produktu leczniczego (także część EPAR).

## **Jak działa produkt Ferriprox?**

Pacjenci z talasemią major wymagają częstych przetoczeń krwi. Gdy pacjenci otrzymują wielokrotnie przetoczenia krwi, wraz z przetaczanymi krwinkami czerwonymi do organizmu dostarczane jest żelazo. Organizm nie dysponuje jednak naturalną metodą usuwania nadmiaru żelaza, w związku z czym jego ilość kumuluje się. Z czasem nadmiar żelaza może doprowadzić do uszkodzenia ważnych narządów, takich jak serce lub wątroba. Substancja czynna produktu Ferriprox, deferypron, jest środkiem chelatującym żelazo. Wiąże się ona z żelazem w organizmie, tworząc związek, który może zostać wydalony z organizmu, głównie z moczem, a w mniejszym stopniu – z kałem. Ułatwia to usunięcie nadmiaru żelaza i zapobiega powiązanim uszkodzeniom.

## **Jak badano produkt Ferriprox?**

Ferriprox początkowo oceniano w trzech badaniach z udziałem 247 pacjentów w wieku powyżej 6 lat z talasemią major, przy czym w badaniu głównym przez okres dwóch lat porównywano Ferriprox z deferoksamina u 71 pacjentów. Było to badanie otwarte, co oznacza, że lekarz i pacjenci wiedzieli, jaki lek stosują, ponieważ Ferriprox podaje się doustnie, natomiast deferoksaminę – we wstrzyknięciu pod skórę przez całą noc. W przeprowadzonym później badaniu u 60 pacjentów przez okres 12 miesięcy porównywano leczenie produktem Ferriprox i deferoksaminą podawanymi na przemian (w każdym tygodniu pięć dni produktu Ferriprox oraz dwa dni deferoksaminy) z ciągłym leczeniem samą deferoksaminą.

We wszystkich badaniach głównym kryterium skuteczności była zmiana poziomu ferrytyny we krwi. Ferrytyna jest białkiem, które przechowuje żelazo we krwi. Poziom ferrytyny we krwi wskazuje na ilość żelaza zmagazynowanego w organizmie.

Ponadto na poparcie stosowania produktu Ferriprox w skojarzeniu z innym środkiem chelatującym żelazo dostarczono badania z opublikowanego piśmiennictwa dotyczącego pacjentów z talasemią major.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Ferriprox zaobserwowano w badaniach?**

We wstępnym badaniu porównującym Ferriprox z deferoksaminą średni poziom ferrytyny we krwi nie różnił się w sposób istotny pomiędzy obiema grupami leczenia, lecz wydawało się, że średnie stężenie żelaza w wątrobie u pacjentów leczonych produktem Ferriprox wzrasta bardziej niż u pacjentów leczonych deferoksaminą.

W badaniu z zastosowaniem leczenia naprzemiennego schemat leczenia produktem Ferriprox podawanym przez pięć dni i deferoxaminą podawaną przez dwa dni obniżał poziom ferrytyny w takim samym stopniu jak deferoxamina stosowana w monoterapii. Liczba pacjentów w tym badaniu nie była jednak wystarczająca do wykazania, że taki schemat leczenia jest tak samo skuteczny jak stosowanie deferoxaminy w monoterapii.

Według doniesień z opublikowanych badań dotyczących stosowania produktu Ferriprox w skojarzeniu z deferoxaminą poziom ferrytyny obniżył się bardziej w przypadku stosowania obu leków niż przy monoterapii. Ponadto w opublikowanym badaniu poziom żelaza w sercu obniżył się bardziej u pacjentów stosujących Ferriprox w skojarzeniu z deferoxaminą niż u pacjentów przyjmujących deferoxaminę w monoterapii.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Ferriprox?**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem produktu Ferriprox (obserwowane u więcej niż 1 pacjenta na 10) to: czerwonawe/brązowe zabarwienie moczu (co wskazuje na wydalanie żelaza), nudności (mdłości), bóle brzucha i wymioty. Mniej częste, ale poważniejsze działania niepożądane to agranulocytoza (bardzo niski poziom granulocytów – rodzaju białych krwinek) i neutropenia (niski poziom neutrofilii – rodzaju białych krwinek). Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem produktu Ferriprox znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Produktu Ferriprox nie wolno stosować u pacjentów, u których w przeszłości wystąpiły nawracające epizody neutropenii lub agranulocytoza. Produktu Ferriprox nie wolno także stosować w skojarzeniu z lekami, które mogą powodować neutropenię lub agranulocytozę. U pacjentów przyjmujących Ferriprox należy co tydzień sprawdzać liczbę neutrofilii. Jeśli u pacjenta wystąpi infekcja, należy przerwać leczenie produktem Ferriprox i częściej sprawdzać liczbę neutrofilii. Pacjenci powinni natychmiast zgłosić lekarzowi wszelkie objawy mogące świadczyć o infekcji, takie jak gorączka, ból gardła i objawy grypopodobne.

Produktu Ferriprox nie wolno stosować u kobiet w ciąży lub karmiących piersią. Pełny wykaz ograniczeń związanych ze stosowaniem produktu Ferriprox znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Na jakiej podstawie zatwierdzono produkt Ferriprox?**

CHMP uznał, że korzyści ze stosowania produktu Ferriprox przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu.

## **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Ferriprox?**

Pacjenci przyjmujący Ferriprox lub ich opiekunowie powinni otrzymać kartę przypominającą, która zawiera informacje na temat bezpiecznego przyjmowania leku.

Oprócz tego w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów w celu bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Ferriprox.

## **Inne informacje dotyczące produktu Ferriprox:**

W dniu 25 sierpnia 1999 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Ferriprox do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Ferriprox znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Ferriprox należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 05.2016.