



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Ferriprox

deferiprón

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Ferriprox. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Ferriprox.

Čo je liek Ferriprox?

Ferriprox je liek, ktorý obsahuje účinnú látku deferiprón. Liek je dostupný vo forme tabliet (500 a 1 000 mg) a perorálneho roztoku (100 mg/ml).

Na čo sa liek Ferriprox používa?

Liek Ferriprox je tzv. chelátor železa (látka, ktorá sa viaže na železo), ktorý sa používa na liečbu preťaženia železom (nadbytku železa v tele) u pacientov s ťažkou formou talasémie (talasemia major). Ide o dedičné ochorenie, v dôsledku ktorého pacienti nedokážu vytvárať dostatok hemoglobínu, proteínu, ktorý sa nachádza v červených krvinkách a prenáša v tele kyslík.

Liek Ferriprox sa používa:

- samostatne (v prípade), ak nie je možné použiť štandardnú liečbu chelátorom železa alebo je takáto liečba nevhodná;
- v kombinácii s iným chelátorom železa, ak liečba s jedným chelátorom železa samostatne nie je účinná alebo ak prevencia alebo liečba život ohrozujúcich stavov (predovšetkým postihujúcich srdce) si vyžaduje rýchlu alebo intenzívnu zmenu hladiny železa.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Ferriprox užíva?

Liečbu liekom Ferriprox má začať a viesť lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s talasémiou.

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



Zvyčajná dávka lieku Ferriprox je 75 mg na kilogram telesnej hmotnosti denne a podáva sa v troch oddelených dávkach. Dávky vyššie ako 100 mg/kg denne sa neodporúčajú vzhľadom na potenciálne zvýšené riziko vedľajších účinkov. Lekár môže upraviť dávku lieku Ferriprox podľa odpovede pacienta, ktorá by sa mala merať každé dva až tri mesiace prostredníctvom krvných testov. Lekár môže liečbu prerušiť, ak sa hladina železa v tele priveľmi zníži.

Viac informácií sa nachádza v súhrne charakteristických vlastností lieku (súčasť správy EPAR).

Akým spôsobom liek Ferriprox účinkuje?

Pacienti s ťažkou formou talasémie potrebujú časté krvné transfúzie. Keď pacienti dostávajú transfúzie opakovane, červené krvinky počas transfúzie privádzajú do tela železo. Telo však nemá prirodzený spôsob odstraňovania nadbytočného železa, takže železo sa v tele ukladá. Nadbytok železa môže časom poškodiť dôležité orgány, napríklad srdce alebo pečeň. Účinná látka lieku Ferriprox, deferiprón, je tzv. chelátor železa. Tento sa v tele naviaže na železo a vytvorí zlúčeninu, ktorú telo môže vylúčiť, a to najmä močom a v menšej miere stolicou. To pomáha napraviť preťaženie železom a zabrániť poškodeniu v dôsledku nadbytočného železa.

Ako bol liek Ferriprox skúmaný?

Liek Ferriprox sa pôvodne skúmal v troch štúdiách zahŕňajúcich 247 pacientov vo veku nad šesť rokov s ťažkou formou talasémie, pričom v hlavnej štúdii sa porovnával liek Ferriprox s deferoxamínom u 71 pacientov počas dvoch rokov. Štúdia bola otvorená, to znamená, že lekár i pacienti vedeli, aký liek sa užíva, pretože liek Ferriprox sa užíval ústami, zatiaľ čo deferoxamín sa podával formou injekcie pod kožu v noci. V ďalšej štúdii sa porovnávalo striedavé podávanie lieku Ferriprox a deferoxamínu (päť dní liek Ferriprox plus dva dni deferoxamín, každý týždeň) s nepretržitou liečbou deferoxamínom v monoterapii u 60 pacientov počas 12 mesiacov.

Hlavným meradlom účinnosti vo všetkých štúdiách boli zmeny hladiny feritínu v krvi. Feritín je proteín, ktorý ukladá v tele železo. Hladina feritínu v krvi je ukazovateľom množstva železa uloženého v tele.

Okrem toho boli predložené štúdie z uverejnenej literatúry u pacientov s ťažkou formou talasémie s cieľom podporiť užívanie lieku Ferriprox v kombinácii s iným chelátorom železa.

Aký prínos preukázal liek Ferriprox v týchto štúdiách?

V pôvodnej štúdii, v ktorej sa liek Ferriprox porovnával s deferoxamínom, boli v dvoch liečebných skupinách priemerné hladiny feritínu v krvi podobné. Zdá sa však, že priemerná koncentrácia železa v pečeni u pacientov, ktorí užívali liek Ferriprox, sa zvýšila viac ako u pacientov, ktorí užívali deferoxamín.

Pokiaľ ide o štúdiu skúmajúcu striedanie liečby, počas liečebného režimu kombinujúceho liek Ferriprox počas piatich dní s deferoxamínom počas dvoch dní sa znížili hladiny feritínu v rovnakej miere ako v prípade deferoxamínu užívaného samostatne. Počet pacientov v štúdii však nebol dostatočný na to, aby sa dokázalo, či je takýto režim rovnako účinný ako deferoxamín užívaný samostatne.

V uvedených štúdiách, ktoré sa týkali užívania lieku Ferriprox spolu s deferoxamínom, sa uvádzalo väčšie zníženie hladiny feritínu v krvi, ak sa obidva lieky užívali v kombinácii v porovnaní s užívaním každého lieku samostatne. Podľa uverejnenej štúdie užívanie lieku Ferriprox spolu s deferoxamínom takisto viedlo k väčšiemu zníženiu železa v srdci v porovnaní s pacientmi užívajúcimi deferoxamín samostatne.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Ferriprox?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Ferriprox (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) sú červenohnedý moč (dokazuje vylučovanie železa), nauzea (pocit nevoľnosti), abdominálna bolesť (bolesť žalúdka) a vracanie. Menej časté, avšak závažnejšie vedľajšie účinky sú agranulocytóza (veľmi nízke hladiny granulocytov, typu bielych krviniek) a neutropénia (nízky počet neutrofilov, typu bielych krviniek). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Ferriprox sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Ferriprox sa nesmie používať u ľudí, ktorí predtým mali opakovane neutropéniu alebo agranulocytózu. Liek Ferriprox sa takisto nesmie užívať spolu s liekmi, ktoré by mohli zapríčiniť neutropéniu alebo agranulocytózu. Pri užívaní lieku Ferriprox sa má každý týždeň sledovať počet neutrofilov u pacienta. Ak sa u pacienta vyskytne infekcia, liečba liekom Ferriprox sa má dočasne prerušiť a počet neutrofilov kontrolovať častejšie. Pacienti majú svojho lekára okamžite informovať, ak sa u nich vyskytnú príznaky, ktoré by mohli byť zapríčinené infekciou, napr. horúčka, bolesť hrdla a príznaky podobné chrípke.

Liek Ferriprox nesmú užívať tehotné alebo dojčiacie ženy. Zoznam všetkých obmedzení lieku Ferriprox sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Ferriprox povolený?

Výbor CHMP rozhodol, že prínosy lieku Ferriprox sú väčšie než riziká spojené s jeho užívaním, a odporučil udeliť povolenie na uvedenie lieku na trh.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Ferriprox?

Pacienti užívajúci liek Ferriprox alebo ich ošetrovatelia musia dostať informačnú kartičku s pokynmi, ako liek bezpečne užívať.

Do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa boli takisto zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktorými sa majú riadiť zdravotnícki odborníci a pacienti na dosiahnutie bezpečného a účinného používania lieku Ferriprox.

Ďalšie informácie o lieku Ferriprox

Dňa 25. augusta 1999 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Ferriprox na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Ferriprox sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Ferriprox, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 05-2016