



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Povzetek EPAR za javnost

---

# Ferriprox

deferipron

Ta dokument je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Ferriprox. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil to zdravilo Ferriprox, na podlagi česar je oblikoval mnenje za izdajo dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

## Kaj je zdravilo Ferriprox?

Ferriprox je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino deferipron. Na voljo je v obliki tablet (500 in 1 000 mg) in v obliki peroralne raztopine (100 mg/ml).

## Za kaj se zdravilo Ferriprox uporablja?

Zdravilo Ferriprox je „kelator železa“ (snov, ki se veže na železo), ki se uporablja za zdravljenje prenasičenosti z železom (prevelike količine železa v krvi) pri bolnikih z veliko talasemijo. To je dedna bolezen, pri kateri se ne ustvarja dovolj hemoglobina, beljakovine, ki se nahaja v rdečih krvničkah in po telesu prenaša kisik.

Zdravilo Ferriprox se uporablja:

- samostojno, kadar standardnega zdravljenja s kelatorjem železa ni mogoče uporabiti ali ni ustrezno;
- v kombinaciji z drugim kelatorjem železa, kadar samostojno zdravljenje z enim kelatorjem železa ni učinkovito ali kadar preprečevanje ali zdravljenje življenjsko nevarnih bolezni (večinoma povezanih s srcem) zahteva hitro ali intenzivno spremembo ravni železa.

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept.



## Kako se zdravilo Ferriprox uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Ferriprox mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov s talasemijo.

Običajni odmerek zdravila Ferriprox je 75 mg na kilogram telesne mase vsak dan, razdeljen v tri ločene odmerke. Odmerki nad 100 mg/kg na dan niso priporočljivi zaradi morebitnega povečanja tveganja neželenih učinkov. Zdravnik lahko prilagodi odmerek zdravila Ferriprox glede na bolnikov odziv, ki ga je treba s krvnim testom izmeriti vsake dva do tri mesece. Zdravnik lahko prekine zdravljenje, če se ravni železa v telesu spustijo prenizko.

Za več informacij glejte povzetek glavnih značilnosti zdravila (ki je prav tako del EPAR).

## Kako zdravilo Ferriprox deluje?

Bolniki z veliko talasemijo potrebujejo pogosto transfuzijo krvi. Če bolniki prejmejo večkratno transfuzijo, prenesene rdeče krvničke s seboj prinesejo tudi železo. Vendar telo presežne količine železa ne more odstraniti po naravni poti, zato se to kopiči. Sčasoma lahko odvečno železo poškoduje pomembne organe, kot so srce ali jetra. Zdravilna učinkovina zdravila Ferriprox, deferipron, je kelator železa. Veže se na železo v telesu in pri tem tvori spojino, ki jo telo lahko izloča, predvsem z urinom in v manjši meri z blatom. To pomaga odpraviti prenasičenost z železom in preprečevati poškodbe zaradi njegovega presežka.

## Kako je bilo zdravilo Ferriprox raziskano?

Zdravilo Ferriprox so najprej proučevali v treh študijah, v katerih je sodelovalo 247 bolnikov z veliko talasemijo, starejših od šest let, pri čemer so v glavni študiji pri 71 bolnikih zdravilo Ferriprox primerjali z deferoksaminom v obdobju dveh let. Šlo je za „odprto študijo“, kar pomeni, da so tako zdravniki kot bolniki vedeli, katera zdravila uporabljajo, saj se zdravilo Ferriprox zaužije peroralno, deferoksamin pa se prek noči injicira v podkožje. V kasnejši študiji so pri 60 bolnikih v času 12 mesecev zdravljenje z izmenjevanjem zdravila Ferriprox in deferoksamina (vsak teden po pet dni zdravilo Ferriprox in dva dni deferoksamin) primerjali z zdravljenjem samo z deferoksaminom.

V vseh študijah je bilo glavno merilo učinkovitosti sprememba ravni feritina v krvi. Feritin je beljakovina, ki shranjuje železo v telesu. Raven feritina v krvi kaže, koliko železa je shranjenega v telesu.

Poleg tega so bile v podporo uporabi zdravila Ferriprox v kombinaciji z drugim kelatorjem železa predložene študije iz objavljene literature pri bolnikih s talasemijo.

## Kakšne koristi je zdravilo Ferriprox izkazalo med študijami?

V začetni študiji, v kateri so primerjali zdravilo Ferriprox z deferoksaminom, so bile povprečne ravni feritina v krvi v obeh zdravljenih skupinah podobne. Vendar pa se je zdelo, da se je povprečna koncentracija železa v jetrih bolnikov, zdravljenih z zdravilom Ferriprox, povečala bolj kot pri bolnikih, ki so jemali deferoksamin.

V študiji zdravljenja z izmenjevanjem zdravil je urnik zdravljenja, po katerem so kombinirali pet dni zdravljenja z zdravilom Ferriprox in dva dni z deferoksaminom, znižal ravni feritina v krvi v enaki meri kot zdravljenje samo z deferoksaminom. Vendar pa število bolnikov v študiji ni bilo zadostno, da bi bilo mogoče dokazati, ali je tak urnik res tako učinkovit kot samostojno jemanje deferoksamina ali ne.

Objavljene študije o uporabi zdravila Ferriprox z deferoksaminom kažejo na večje znižanje ravni feritina v krvi pri uporabi kombinacije obeh zdravil v primerjavi z uporabo vsakega zdravila samostojno. V objavljeni študiji je zdravilo Ferriprox v kombinaciji z deferoksaminom povzročilo tudi večje zmanjšanje železa v srcu v primerjavi z bolniki, ki so jemali samo deferoksamin.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Ferriprox?**

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Ferriprox (opaženi pri več kot 1 bolniku od 10) so rdečkastorjav urin (kar kaže na izločanje železa), navzeja (slabost), abdominalne (trebušne) bolečine in bruhanje. Manj pogosta, vendar resnejša neželena učinka, sta agranulocitoza (zelo nizka raven granulocitov, vrste belih krvničk) in nevtropenija (nizke ravni nevtrofilcev, vrste belih krvničk). Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Ferriprox, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Ferriprox ne smejo uporabljati osebe, ki so predhodno imele ponavljajočo se nevtropenijo ali agranulocitozo. Zdravilo Ferriprox se poleg tega ne sme uporabljati skupaj z zdravili, ki bi lahko povzročila nevtropenijo ali agranulocitozo. Pri bolnikih, ki jemljejo zdravilo Ferriprox, je treba število nevtrofilcev preverjati vsak teden. Če pri bolniku pride do okužbe, je treba zdravljenje z zdravilom Ferriprox začasno prekiniti in pogosteje preverjati število nevtrofilcev. Bolniki morajo nemudoma obvestiti zdravnika o simptomih, ki bi lahko bili posledica okužbe, kot npr. vročina, vneto grlo in gripi podobni simptomi.

Nosečnice ali ženske, ki dojijo, zdravila Ferriprox ne smejo jemati. Za celoten seznam omejitev pri uporabi zdravila Ferriprox glejte navodilo za uporabo.

## **Zakaj je bilo zdravilo Ferriprox odobreno?**

Odbora za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je zaključil, da so koristi zdravila Ferriprox večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj izda dovoljenje za promet.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Ferriprox?**

Bolniki, ki jemljejo zdravilo Ferriprox, ali njihovi skrbniki, morajo prejeti opozorilno kartico z informacijami o varnem jemanju zdravila.

V povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo so bili prav tako vključeni priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki za varno in učinkovito uporabo tega zdravila.

## **Druge informacije o zdravilu Ferriprox:**

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Ferriprox, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 25. avgusta 1999.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Ferriprox je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Ferriprox preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 05-2016.