



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Ferriprox

deferipron

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Ferriprox. Det förklarar hur kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är Ferriprox?

Ferriprox är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen deferipron. Det finns som tabletter (500 mg och 1 000 mg) och som oral lösning (100 mg/ml).

Vad används Ferriprox för?

Den aktiva substansen i Ferriprox är en järnkelatkomplexbildare (en substans som binder till järn). Läkemedlet används för att behandla järnöverskott hos patienter med talassemia major. Detta är en ärftlig sjukdom som innebär att patienterna inte kan producera tillräckligt med hemoglobin, det protein som finns i de röda blodkropparna som transporterar runt syret i kroppen.

Ferriprox används

- som enda behandling i fall där standardbehandling med järnkelatkomplexbildare inte kan ges eller inte är lämplig,
- i kombination med en annan järnkelatkomplexbildare i fall där behandling med en enda järnkelatkomplexbildare är ineffektivt eller för att förhindra eller behandla livshotande tillstånd (huvudsakligen hjärtrelaterade) som kräver snabb eller kraftfull korrigerande av järnnivåerna.

Läkemedlet är receptbelagt.



Hur används Ferriprox?

Behandling med Ferriprox bör inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med talassemi.

Den vanliga dosen Ferriprox är 75 mg per kilo kroppsvikt per dag, som delas upp i tre separata doser. Doser över 100 mg/kg per dag rekommenderas inte på grund av en potentiellt förhöjd risk för biverkningar. Läkaren kan justera dosen Ferriprox beroende på patientens svar, som ska mätas varannan till var tredje månad genom blodprov. Läkaren kan avbryta behandlingen om järnhalten i kroppen blir för låg.

Mer information finns i produktresumén (ingår också i EPAR).

Hur verkar Ferriprox?

Patienter med talassemia major behöver ofta få blodtransfusioner. När patienter får blodtransfusioner upprepade gånger för de nya röda blodkropparna med sig järn. Eftersom kroppen inte har något naturligt sätt att göra sig av med detta järn samlas det i kroppen. Med tiden kan järnöverskottet skada viktiga organ som hjärtat eller levern. Den aktiva substansen i Ferriprox, deferipron, är en järnkelatkomplexbildare. Det binder till järn i kroppen och bildar en förening som kroppen kan utsöndra, huvudsakligen i urinen och i mindre utsträckning i avföringen. Detta bidrar till att korrigera järnöverskottet och förhindra skador på grund av överskottet på järn.

Hur har Ferriprox effekt undersökts?

Ferriprox undersöktes ursprungligen i tre studier med 247 patienter som var minst sex år gamla och hade talassemia major. I den viktigaste studien jämfördes Ferriprox med deferoxamin hos 71 patienter under en tvåårsperiod. Studien var öppen, vilket innebär att både läkaren och patienterna visste vilka läkemedel de använde, eftersom Ferriprox togs oralt medan deferoxamin gavs genom en injektion under huden över natten. I en senare studie jämfördes en behandling där Ferriprox och deferoxamin användes omväxlande (fem dagar med Ferriprox plus två dagar med deferoxamin varje vecka) med kontinuerlig behandling med enbart deferoxamin hos 60 patienter under 12 månader.

I samtliga studier mättes effekten genom att man undersökte nivåerna av ferritin i blodet. Ferritin är ett protein som binder järn i kroppen. Mängden ferritin i blodet visar hur mycket järn som finns bundet i kroppen.

Dessutom lades studier fram på patienter med talassemia major från den publicerade litteraturen, som var till stöd för användningen av Ferriprox i kombination med en annan järnkelatkomplexbildare.

Vilken nytta har Ferriprox visat vid studierna?

I den första studien, där Ferriprox jämfördes med deferoxamin, var medelnivåerna av ferritin i blodet likartade i de två behandlingsgrupperna. Medelkoncentrationen av järn i levern tycktes emellertid öka mer hos patienter som fick Ferriprox än hos patienter som fick deferoxamin.

I den studie där behandlingen växlade uppvisade det behandlingsschema där Ferriprox i fem dagar kombinerades med deferoxamin i två dagar lika stora sänkningar av ferritinnivåerna som vid behandling med enbart deferoxamin. Antalet patienter i studien var dock inte tillräckligt stort för att bevisa att ett sådant schema är lika effektivt som enbart deferoxamin.

I publicerade studier om användning av Ferriprox i kombination med deferoxamin visades på en större minskning av ferritinnivåerna i blodet när dessa båda läkemedel användes i kombination, jämfört med då någotdera läkemedel användes ensamt. En av de publicerade studierna visade att patienter som tog Ferriprox i kombination med deferoxamin även uppnådde en större minskning av järnhalterna i hjärtat jämfört med patienter som tog deferoxamin som enda behandling.

Vilka är riskerna med Ferriprox?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Ferriprox (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är rödaktig/brun urin (visar att järn utsöndras), illamående, buksmärtor (magont) och kräkningar. Mindre vanliga men allvarliga biverkningar är agranulocytos (mycket låga nivåer av granulocyter, en typ av vita blodkroppar) och neutropeni (låga halter av neutrofiler, en typ av vita blodkroppar). En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Ferriprox finns i bipacksedeln.

Ferriprox får inte ges till patienter som tidigare drabbats av upprepad neutropeni eller agranulocytos. Ferriprox får inte heller ges tillsammans med läkemedel som kan orsaka neutropeni eller agranulocytos. Halten av neutrofiler ska kontrolleras en gång i veckan hos patienter som behandlas med Ferriprox. Om patienten får en infektion ska behandlingen med Ferriprox avbrytas tillfälligt och halten av neutrofiler kontrolleras oftare. Vid eventuella symtom som kan tyda på en infektion, såsom feber, halsont och influensaliknande symtom, ska patienten omedelbart tala med sin läkare.

Ferriprox får inte ges till kvinnor som är gravida eller ammar. En fullständig förteckning över restriktioner för Ferriprox finns i bipacksedeln.

Varför har Ferriprox godkänts?

CHMP fann att nyttan med Ferriprox är större än riskerna och rekommenderade att Ferriprox skulle godkännas för försäljning.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Ferriprox?

Patienter som tar Ferriprox eller deras vårdare måste få ett påminnelsekort med information om hur läkemedlet ska tas på ett säkert sätt.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Ferriprox har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Ferriprox

Den 25 augusti 1999 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Ferriprox som gäller i hela EU.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Ferriprox finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 05-2016.