



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/150203/2017  
EMA/H/C/003861

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

### Natpar

parathormonum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Natpar. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Natpar používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Natpar, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

### Co je Natpar a k čemu se používá?

Natpar je hormonální substituční léčivý přípravek k léčbě dospělých se sníženou funkcí příštítných tělísek, což je onemocnění zvané hypoparathyreóza.

U pacientů s tímto onemocněním příštítná tělíska na krku nevytvářejí dostatek parathormonu, který kontroluje hladinu vápníku v krvi. V důsledku toho mají pacienti nízké hladiny vápníku, což může vyvolat potíže v kostech, svalech, srdci, ledvinách a dalších částech těla.

Přípravek Natpar se používá jako přídatná léčba spolu s doplňky vápníku a vitamínu D, pokud tyto typy léčby neměly dostatečný účinek.

Jelikož počet pacientů s hypoparathyreózou je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Natpar byl dne 18. prosince 2013 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Obsahuje léčivou látku parathormon.



## **Jak se přípravek Natpar používá?**

Přípravek Natpar je k dispozici ve formě prášku a tekutiny, jejichž smícháním vzniká injekční roztok. Podává se injekčně pod kůži do stehna s použitím injekčního pera pro přípravek Natpar. Obvyklá doporučená počáteční dávka je 50 mikrogramů jednou denně. Dávka přípravku Natpar jakož i pacientova dávka doplňků vitamínu D a vápníku je poté upravena podle hladiny vápníku v krvi pacienta. Maximální denní dávka je 100 mikrogramů.

Po zaškolení si pacienti mohou injekce přípravku Natpar aplikovat sami. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl vést zdravotnický pracovník, který má zkušenosti s léčbou pacientů s hypoparathyreózou. Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

## **Jak přípravek Natpar působí?**

Léčivá látka v přípravku Natpar, parathormon, je kopií přirozeného hormonu, který se tvoří v příštítných tělískách. Nahrazuje chybějící hormon u pacientů s hypoparathyreózou, a tím pomáhá obnovit hladiny vápníku.

## **Jaké přínosy přípravku Natpar byly prokázány v průběhu studií?**

Bylo prokázáno, že přípravek Natpar pomáhá kontrolovat hladiny vápníku v krvi u pacientů s hypoparathyreózou, kteří užívají doplňky vápníku a vitamínu D.

V hlavní 24týdenní studii zahrnující 124 pacientů byly u 54,8 % (46 z 84) pacientů, kteří užívali přípravek Natpar, dosaženy a zachovány přijatelné hladiny vápníku v krvi za současného snížení dávek doplňků vápníku a vitamínu D o alespoň 50 %. Podíl pacientů, kteří užívali placebo (neúčinný přípravek) a u kterých byly dosaženy stejné hodnoty, bylo 2,5 % (1 z 40 pacientů).

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Natpar?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Natpar (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou příliš vysoké nebo příliš nízké hladiny vápníku v krvi, které mohou vyvolat bolest hlavy, průjem, zvracení, parestezie (neobvyklé pocity, jako je brnění a mravenčení), hypestezie (snížená citlivost na dotek) a vysoké hladiny vápníku v moči. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Natpar je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Natpar se nesmí používat u pacientů, kteří podstupují nebo dříve podstoupili radioterapii kostí nebo kteří trpí rakovinou kostí nebo rakovinou, jež se rozšířila do kostí, a u pacientů se zvýšeným rizikem vzniku rakoviny kostí zvané osteosarkom. Přípravek Natpar se rovněž nesmí používat u pacientů s nevysvětlitelným zvýšením hladin enzymu zvaného kostní alkalická fosfatáza a u pacientů s pseudohypoparathyreózou, což je vzácné onemocnění, při kterém tělo není schopno adekvátně odpovědět na parathormon produkovaný v těle. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Natpar schválen?**

Přípravek Natpar nahrazuje chybějící parathormon u pacientů s hypoparathyreózou. I když hlavní studie prokázala, že přípravek Natpar napomáhá kontrolovat hladiny vápníku v krvi a zároveň snižuje nutnost podávat doplňky vápníku a vitamínu D, studie trvala krátkou dobu a neprokázala zlepšení kvality pacientova života nebo zmírnění dlouhodobých potíží, jako je porucha funkce ledvin. Proto by měl být přípravek Natpar používán pouze u pacientů, u nichž standardní typy léčby nevedly samy o sobě k adekvátní kontrole nebo u kterých nejsou dispozici jiné možnosti léčby.

S ohledem na bezpečnost je riziko příliš vysokých nebo příliš nízkých hladin vápníku považováno za významné a k lepšímu pochopení důsledků velkých výkyvů hladiny vápníku v krvi v souvislosti s podáváním léčivého přípravku jednou denně jsou nezbytné další údaje.

Vzhledem k tomu, že jsou k dispozici omezené údaje, bylo přípravku Natpar uděleno „podmíněné schválení“. Znamená to, že se očekávají další poznatky o tomto léčivém přípravku požadované od výrobce. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento souhrn bude podle potřeby aktualizován.

### **Jaké informace o přípravku Natpar nebyly dosud předloženy?**

Jelikož přípravku Natpar bylo uděleno podmíněné schválení, společnost, která přípravek Natpar dodává na trh, provede další studii s cílem potvrdit přínosy a rizika léčivého přípravku a vhodnost dávkování přípravku jednou denně.

### **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Natpar?**

Společnost, která přípravek Natpar dodává na trh, vytvoří registr a bude shromažďovat dlouhodobé údaje o pacientech léčených přípravkem Natpar včetně jeho účinků na kosti, ledviny a kvalitu života pacientů.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Natpar, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

### **Další informace o přípravku Natpar**

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Natpar je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports). Další informace o léčbě přípravkem Natpar naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Natpar vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare_disease_designation).