



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Natpar

lisäkilpirauhashormoni

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Natpar-valmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sille ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Natparin käytöstä.

Potilas saa Natparin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Natpar on ja mihin sitä käytetään?

Natpar on hormonikorvausvalmiste aikuisille, joilla on lisäkilpirauhashen vajaatoimintaa. Tämä sairaus tunnetaan nimellä "hypoparatyreoosi".

Tästä sairaudesta kärsivillä potilailla kaulassa olevat lisäkilpirauhaset eivät tuota tarpeeksi lisäkilpirauhashormonia, joka säätelee veren sisältämän kalsiumin määrää. Tämän vuoksi potilaiden veren kalsiumpitoisuus on alhainen. Tämä voi aiheuttaa oireita luissa, lihaksissa, sydämessä, munuaisissa ja muissa kehon osissa.

Natpar-valmistetta käytetään lisälääkityksenä kalsiumlisää tai D-vitamiinia käytettäessä, kun nämä hoidot eivät ole toimineet tarpeeksi hyvin.

Koska lisäkilpirauhashen vajaatoimintaa sairastavia potilaita on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi, ja Natpar nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 18. joulukuuta 2013.

Sen vaikuttava aine on lisäkilpirauhashormoni.



Miten Natpar-valmistetta käytetään?

Natpar on saatavana kuiva-aineena ja liuottimena, jotka sekoitetaan injektoliuokseksi. Natpar pistetään ihon alle reiteen Natpar-kynällä. Suositeltu aloitusannos on 50 mikrogrammaa kerran päivässä. Natpar-annosta, samoin kuin potilaan D-vitamiinin ja kalsiumlisän annosta, säädetään sitten potilaan veren sisältämän kalsiumin määrän mukaan. Päivittäinen enimmäisannos on 100 mikrogrammaa.

Potilaat voivat injektoida Natparin itse saatuaan siihen opastuksen. Natpar on reseptilääke. Terveystieteiden ammattilaisen, jolla on kokemusta hypoparatyreoosin hoitamisesta, pitää valvoa hoitoa. Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Natpar vaikuttaa?

Natpar-valmisteen vaikuttava aine, lisäkilpirauhashormoni, on kopio luonnollisesta hormonista, jota lisäkilpirauhaset tuottavat. Se korvaa puuttuvan hormonin potilailla, joilla on hypoparatyreoosi, ja auttaa näin palauttamaan kalsiumin määrän normaaliksi.

Mitä hyötyä Natparista on havaittu tutkimuksissa?

Natpar-valmisteen on osoitettu auttavan veren sisältämän kalsiumin määrän hallitsemisessa potilailla, joilla on hypoparatyreoosi ja jotka saavat D-vitamiinia ja kalsiumlisää.

24 viikon pituisessa päätutkimuksessa, johon osallistui 124 potilasta, 54,8 % potilaista (46 potilasta 84:stä), jotka saivat Natpar-valmistettä, saavutti ja piti yllä hyväksyttävän kalsiumin määrän veressä samalla kun heidän D-vitamiinin ja kalsiumlisän annoksensa pieneni vähintään 50 %. Lumelääkettä saaneista potilaista saman hoitotuloksen saavutti 2,5 % (1 potilas 40:stä).

Mitä riskejä Natpariin liittyy?

Natparin yleisimmät sivuvaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat liian korkeat tai alhaiset kalsiumin määrät veressä, jotka voivat aiheuttaa päänsärkyä, ripulia, oksentelua, parestesiaa (epätavallisia tuntemuksia kuten pistelyä), hypestesiaa (heikentynyt tuntoaisti) ja korkeita kalsiumin määriä virtsassa. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Natparin ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Natpar-valmistettä ei saa käyttää potilailla, jotka parhaillaan saavat tai jotka ovat saaneet sädehoitoa luuihin, joilla on luusyöpä tai luustoon levinnyt syöpä ja joilla on lisääntynyt riski saada luusyöpä nimeltä osteosarkooma. Natpar-valmistettä ei saa myöskään käyttää potilailla, joilla luun alkalinen fosfataasi -nimisen entsyymin määrä on noussut epäselvästä syystä, eikä potilailla, joilla on harvinainen sairaus nimeltä pseudohypoparatyreoosi. Tässä sairaudessa elimistö ei reagoi riittävästi elimistön tuottamaan lisäkilpirauhashormoniin. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

Miksi Natpar on hyväksytty?

Natpar korvaa puuttuvan lisäkilpirauhashormonin potilailla, joilla on hypoparatyreoosi. Vaikka päätutkimus osoittikin, että Natpar auttaa hallitsemaan kalsiumin määrää veressä ja samalla auttaa vähentämään D-vitamiinin ja kalsiumlisän tarvetta, tutkimus oli lyhyt eikä siinä saatu näyttöä potilaiden elämänlaadun paranemisesta tai pitkäaikaisten vaivojen, kuten munuaisten vajaatoiminnan, vähenemisestä. Näin ollen Natpar-valmistettä pitää käyttää vain potilailla, joiden sairaus ei ole riittävästi hallinnassa pelkillä tavanomaisilla hoidoilla ja joilla ei ole muita hoitovaihtoehtoja.

Mitä turvallisuuteen tulee, liian korkeiden tai alhaisten kalsiumin määrien riskiä pidetään tärkeänä ja lisätietoja tarvitaan, jotta voitaisiin ymmärtää paremmin mitä seurauksia veren kalsiumin määrän suurilla vaihteluilla on sen jälkeen kun lääkettä annetaan kerran päivässä.

Koska tietojen määrä on vähäinen, Natpar-valmisteelle on annettu ns. ehdollinen hyväksyntä. Tämä tarkoittaa, että lääkevalmisteesta on odotettavissa lisää tietoa, minkä yhtiö on velvollinen toimittamaan. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Natparista odotetaan vielä saatavan?

Koska Natpar-valmisteelle on annettu ehdollinen myyntilupa, Natparia markkinoiva yhtiö tekee jatkotutkimuksen, jossa varmistetaan lääkkeen riskit ja hyödyt ja kerran päivässä tapahtuvan annostelun sopivuus.

Miten voidaan varmistaa Natparin turvallinen ja tehokas käyttö?

Natpar-lääkevalmistetta markkinoiva yhtiö laatii rekisterin ja kerää pitkäaikaistietoja Natpar-valmisteella hoidetuista potilaista, mukaan lukien sen vaikutukset luustoon, munuaisiin ja potilaiden elämänlaatuun.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Natparin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Muita tietoja Natparista

Natparia koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lisää tietoa Natparilla annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Natparia koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).