



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Natpar

parathormon

Ez a dokumentum a Natpar-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Natpar alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Natpar alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Natpar és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Natpar egy hormonpótló gyógyszer a mellékpajzsmirigy-alulműködésben, úgynevezett hipoparatiroidizmusban szenvedő felnőttek kezelésére.

Az ilyen betegségben szenvedő betegeknél a nyakon található mellékpajzsmirigyek nem termelnek elég parathormont, amely a vér kalciumszintjét szabályozza. Ennek eredményeként a betegeknél alacsony a kalciumszint, ami problémát okozhat a csontokban, izmokban, szívben és más testrészekben.

A Natpar-t kiegészítőként alkalmazzák a kalcium- és D-vitaminpótlás mellett, ha ezen kezelések hatása nem elégséges.

Mivel a hipoparatiroidizmusban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Natpar-t 2013. december 18-án „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

A Natpar hatóanyaga a parathormon.



Hogyan kell alkalmazni a Natpar-t?

A Natpar por és folyadék formájában kapható, amelyeket összekeverve oldatos injekciót kapunk. A Natpar-t a comb bőre alá kell beadni a Natpar toll segítségével. A szokásos kezdő adag 50 mikrogramm naponta egyszer. A Natpar adagját, valamint a beteg D-vitamin- és kálciumpótlás adagját ezt követően a beteg kalcium vérszintje alapján állítják be. A maximális napi adag 100 mikrogramm.

A betegek betanítást követően maguknak is beadhatják a Natpar-t. A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a hipoparatiroidizmában szenvedő betegek kezelésében jártas egészségügyi szakembernek kell felügyelnie. További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejti ki hatását a Natpar?

A Natpar hatóanyaga, a parathormon, a mellékpajzsmirigyek által termelt természetes hormon másolata. Pótolja a hipoparatiroidizmus esetén hiányzó hormont, ezáltal segít helyreállítani a kalciumszintet.

Milyen előnyei voltak a Natpar alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Natpar igazoltan hozzájárul a hipoparatiroidizmában szenvedő, kalcium- és D-vitaminpótlásban részesülő betegek kalciumszintjének szabályozásához.

Egy 124 beteg részvételével végzett, 24 hetes fő vizsgálatban a Natpar-ral kezelt betegek 54,8%-ánál (84-ből 46) érték el és tartottak fenn elfogadható kalcium vérszintet, mialatt a kalcium- és D-vitaminpótlás adagjukat legalább 50%-kal csökkentették. A placebót (hatóanyag nélküli kezelés) szedő betegek között azok aránya, akiknél ugyanezt érték el, 2,5% volt (40-ből 1).

Milyen kockázatokkal jár a Natpar alkalmazása?

A Natpar leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a túl magas vagy túl alacsony kalciumszint, amelyek fejfájást, hasmenést, hányást, paresztéziát (szokatlan érzések, például zsibbadás), hipoesztéziát (csökkent tapintásérzés) és a vizelet magas kalciumszintjét eredményezhetnek. A Natpar alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Natpar nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknél a csontok sugárkezelését végzik vagy végezték korábban, valamint akik csontdaganatban, illetve a csontokra áttérjedt daganatban szenvednek, és nagyobb a kockázata egy csontdaganat, az úgynevezett oszteoszarkóma kialakulásának. A Natpar nem alkalmazható továbbá az úgynevezett csont alkalikus foszfatáz enzim szintjének magyarázat nélküli emelkedése, valamint pszeudohipoparatiroidizmus (egy ritka betegség, amelynek a test nem reagál megfelelően a szervezet által termelt parathormonra) esetén. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Natpar forgalomba hozatalát?

A Natpar pótolja a hipoparatiroidizmában szenvedő betegeknél a hiányzó parathormont. Bár a fő vizsgálat igazolta, hogy a Natpar segít szabályozni a kalciumszintet és csökkenteni a kalcium- és D-vitaminpótlás iránti igényt, a vizsgálat rövid ideig tartott és nem volt bizonyíték arra, hogy a betegek életminősége javulna, illetve a hosszú távú problémák, például a vesekárosodás, mérséklődnének. Ezért a Natpar kizárólag azoknál a betegeknél alkalmazható, akiket a standard kezelésekkal önmagukban nem lehet megfelelően kontrollálni, illetve akiknél nincs más terápiás lehetőség.

A biztonságosságot illetően fontosnak tartják a túl magas vagy túl alacsony kalciumszintet, és további adatokra van szükség, hogy megértsék a kalcium vérszint széles fluktuációinak következményeit a gyógyszer napi egyszeri adását követően.

A korlátozott, rendelkezésre álló adatok miatt a Natpar-t „feltételes jóváhagyással” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyek benyújtására kötelezték a vállalatot. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

Milyen információk várhatók még a Natpar-ral kapcsolatban?

Mivel a Natpar-t „feltételes jóváhagyással” engedélyezték, a Natpar-t forgalmazó vállalat egy további vizsgálatot fog elvégezni, hogy megerősítse a gyógyszer előnyeit és kockázatait, valamint a napi egyszeri adagolási rend megfelelőségét.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Natpar biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Natpar-t forgalmazó vállalat egy jegyzéket állít fel és hosszú távú adatokat gyűjt a Natpar-ral kezelt betegekkel kapcsolatban, beleértve a csontokra, vesékre és a betegek életminőségére kifejtett hatásokat.

A Natpar biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Natpar-ral kapcsolatos egyéb információ

A Natpar-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Natpar-ral történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Natpar-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).