



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Natpar

parathyroidhormoon

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Natpar. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Natpar.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Natpar.

Wat is Natpar en wanneer wordt het voorgeschreven?

Natpar is een hormoonvervangend geneesmiddel voor het behandelen van volwassenen met onderactieve bij schildklieren, een aandoening die hypoparathyreoïdie wordt genoemd.

Bij patiënten met deze aandoening produceren de bij schildklieren in de hals niet genoeg parathyroidhormoon, dat de concentratie calcium in het bloed reguleert. Als gevolg hiervan hebben patiënten lage concentraties calcium, wat problemen in botten, spieren, hart, nieren en andere delen van het lichaam kan veroorzaken.

Natpar wordt gebruikt als aanvulling op behandeling met calcium- en vitamine D-supplementen, wanneer deze behandelingen niet goed genoeg hebben gewerkt.

Aangezien het aantal patiënten met hypoparathyreoïdie klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Natpar op 18 december 2013 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Natpar bevat de werkzame stof parathyroidhormoon.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Hoe wordt Natpar gebruikt?

Natpar is beschikbaar in de vorm van een poeder en een vloeistof, wat samen wordt gemengd tot een oplossing voor injectie. Natpar wordt onder de huid van de dij geïnjecteerd met behulp van de Natparpen. De gebruikelijke aanbevolen aanvangsdosis is 50 microgram eenmaal daags. De dosis Natpar, evenals de dosis vitamine D- en calciumsupplementen van de patiënt, wordt daarna op basis van de bloedconcentratie calcium van de patiënt aangepast. De maximale dagelijkse dosis is 100 microgram.

Patiënten mogen Natpar zelf injecteren als ze hierin geoefend zijn. Het geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gecontroleerd door een professionele zorgverlener die ervaring heeft met het behandelen van patiënten met hypoparathyreoïdie. Zie de bijsluiter voor meer informatie.

Hoe werkt Natpar?

De werkzame stof in Natpar, parathyroïdhormoon, is een kopie van het natuurlijke hormoon dat door de bijnieren wordt geproduceerd. Het vervangt het ontbrekende hormoon bij patiënten met hypoparathyreoïdie, wat helpt om de calciumconcentratie te herstellen.

Welke voordelen bleek Natpar tijdens de studies te hebben?

Er is aangetoond dat Natpar helpt om de bloedconcentratie calcium te reguleren bij patiënten met hypoparathyreoïdie die calcium- en vitamine D-supplementen krijgen.

In een 24 weken durende hoofdstudie onder 124 patiënten bereikte en handhaafde 54,8% (46 van de 84) van de patiënten die Natpar kregen aanvaardbare bloedconcentraties calcium terwijl ze hun doses calcium- en vitamine D-supplementen met ten minste 50% verlaagden. Het percentage patiënten dat bij inname van een placebo (een schijnbehandeling) hetzelfde bereikte was 2,5% (1 van de 40 patiënten).

Welke risico's houdt het gebruik van Natpar in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Natpar (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn te hoge of te lage calciumconcentraties in het bloed, wat kan leiden tot hoofdpijn, diarree, braken, paresthesie (ongebruikelijke gewaarwordingen zoals spelden- en naaldenprikgevoel), hypo-esthesie (verminderde tastzin) en hoge calciumconcentraties in de urine. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Natpar.

Natpar mag niet worden gebruikt bij patiënten die bestralingstherapie van de botten hebben of hebben ondergaan, bij patiënten met botkanker of kanker die zich naar de botten heeft verspreid en bij patiënten met een verhoogd risico op het ontwikkelen van een vorm van botkanker met de naam osteosaroom. Natpar mag ook niet worden gebruikt bij patiënten met onverklaarde toenames in de concentratie van een enzym met de naam bot-alkalinefosfatase en bij patiënten met pseudohypoparathyreoïdie, een zeldzame ziekte waarbij het lichaam niet adequaat reageert op het door het lichaam geproduceerde parathyroïdhormoon. Zie de bijsluiter voor de volledige beschrijving van de beperkende voorwaarden.

Waarom is Natpar goedgekeurd?

Natpar vervangt het ontbrekende parathyroïdhormoon bij patiënten met hypoparathyreoïdie. Hoewel uit de hoofdstudie bleek dat Natpar helpt om de bloedconcentratie calcium te reguleren en tegelijkertijd de behoefte aan calcium- en vitamine D-supplementen vermindert, was de studie van

korte duur en waren er geen aanwijzingen voor verbeteringen in de levenskwaliteit van patiënten of afname van langetermijnproblemen zoals een nierfunctiestoornis. Daarom mag Natpar alleen worden gebruikt bij patiënten die onvoldoende onder controle zijn met alleen standaardbehandelingen en die geen andere behandelingsopties hebben.

Wat betreft de veiligheid wordt het risico dat de calciumconcentratie te hoog wordt belangrijk geacht en zijn er verdere gegevens nodig om meer inzicht te krijgen in de gevolgen van sterke schommelingen in de bloedconcentratie calcium nadat het geneesmiddel eenmaal daags is toegediend.

Vanwege de beperkte beschikbare gegevens is aan Natpar 'voorwaardelijke goedkeuring' verleend. Dit betekent dat er nog meer informatie over het geneesmiddel zal volgen, die door het bedrijf moet worden verstrekt. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Natpar?

Aangezien aan Natpar voorwaardelijke goedkeuring is verleend, zal het bedrijf dat Natpar in de handel brengt een verdere studie uitvoeren om de voordelen en risico's van het geneesmiddel en de geschiktheid van het eenmaal daagse doseringsschema te bevestigen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Natpar te waarborgen?

Het bedrijf dat Natpar in de handel brengt zal een register opzetten en langetermijngegevens verzamelen over met Natpar behandelde patiënten, inclusief de effecten ervan op botten, nieren en de levenskwaliteit van patiënten.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Natpar, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Overige informatie over Natpar

Het volledige EPAR voor Natpar is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Natpar.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Natpar is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).