



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Natpar

parathormon

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Natpar. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Natpar.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Natpar należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Natpar i w jakim celu się go stosuje?

Lek Natpar jest hormonem zastępczym do leczenia dorosłych osób z niedoczynnością przytarczyc.

U pacjentów z tą chorobą gruczoły przytarczyczne znajdujące się w szyi nie wytwarzają wystarczającej ilości parathormonu, który reguluje ilość wapnia we krwi. W efekcie u pacjentów występuje niskie stężenie wapnia, co może powodować problemy związane z kośćmi, mięśniami, sercem, nerkami i innymi częściami organizmu.

Lek Natpar stosuje się jako dodatek do leczenia suplementami wapnia i witaminy D, kiedy terapie te nie działają dostatecznie dobrze.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z niedoczynnością przytarczyc choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 18 grudnia 2013 r. produkt Natpar uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Lek zawiera substancję czynną parathormon.



Jak stosować produkt Natpar?

Produkt jest dostępny w postaci proszku i płynu, które miesza się ze sobą w celu sporządzenia roztworu do wstrzykiwań. Lek Natpar wstrzykuje się pod skórę uda przy użyciu dołączonego wstrzykiwacza. Zalecana dawka początkowa wynosi 50 mikrogramów raz na dobę. Dawkę leku Natpar, jak również dawkę suplementów wapnia i witaminy D stosowaną u pacjenta, modyfikuje się następnie zależnie od stężenia wapnia we krwi pacjenta. Maksymalna dawka dobową wynosi 100 mikrogramów.

Po przejściu szkolenia pacjenci mogą sami wstrzykiwać sobie lek Natpar. Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinna nadzorować osoba z personelu medycznego z doświadczeniem w leczeniu pacjentów z niedoczynnością przytarczyc. Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Jak działa produkt Natpar?

Substancja czynna leku Natpar, parathormon, jest kopią naturalnego hormonu wytwarzanego przez gruczoły przytarczyczne. Zastępuje ona brakujący hormon u pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, pomagając w ten sposób w przywróceniu właściwego stężenia wapnia.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Natpar zaobserwowano w badaniach?

Udowodniono, że lek Natpar pomaga kontrolować stężenie wapnia we krwi u pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, którzy otrzymują suplementy wapnia i witaminy D.

W 24-tygodniowym badaniu głównym z udziałem 124 pacjentów, 54,8% (46 z 84) pacjentów, którzy otrzymywali Natpar, uzyskało i utrzymało akceptowalne stężenie wapnia we krwi przy jednoczesnym zmniejszeniu dawki suplementów wapnia i witaminy D o co najmniej 50%. Odsetek pacjentów przyjmujących placebo (leczenie pozorowane), którzy osiągnęli ten sam efekt, wyniósł 2,5% (1 z 40 pacjentów).

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Natpar?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Natpar (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 10 osób) to: zbyt duże lub zbyt małe stężenie wapnia we krwi, które może wywołać bóle głowy, biegunkę, wymioty, parestezje (nietypowe odczucia takie jak kłucie i mrowienie), niedoczulicę (osłabione czucie dotyku) i duże stężenie wapnia w moczu. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Natpar znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Natpar nie wolno stosować u pacjentów, którzy są lub byli poddawani radioterapii kości, którzy chorują na nowotwór kości lub inny nowotwór z przerzutami do kości i u których występuje zwiększone ryzyko nowotworu kości, zwanego kostniakomięsakiem. Leku Natpar nie wolno również stosować u pacjentów ze zwiększoną aktywnością enzymu zwanego frakcją kostną fosfatazy zasadowej o niewiadomej przyczynie oraz u osób z rzekomą niedoczynnością przytarczyc, rzadką chorobą charakteryzującą się nieodpowiednią reakcją organizmu na działanie parathormonu wytwarzanego przez organizm. Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Natpar?

Natpar zastępuje brakujący parathormon u pacjentów z niedoczynnością przytarczyc. W badaniu głównym udowodniono, że lek Natpar pomaga kontrolować stężenie wapnia we krwi, jednocześnie zmniejszając zapotrzebowanie na suplementy wapnia i witaminy D, ale badanie to było krótkie i nie stwierdzono dowodów na poprawę jakości życia pacjentów lub złagodzenie długotrwałych dolegliwości,

takich jak upośledzenie czynności nerek. Lek Natpar należy więc stosować wyłącznie u pacjentów, którzy nie uzyskują odpowiedniej kontroli przy zastosowaniu samych standardowych metod leczenia i nie mają innych możliwości leczenia.

Co do bezpieczeństwa, za istotne uznaje się ryzyko nadmiernego zwiększenia lub zmniejszenia stężenia wapnia we krwi i niezbędne są dodatkowe dane dla lepszego zrozumienia skutków dużych wahań stężenia wapnia we krwi po podaniu leku raz na dobę.

Z uwagi na ograniczoną dostępność danych, lek Natpar został warunkowo dopuszczony do obrotu. Oznacza to, że będą gromadzone dodatkowe informacje na temat tego leku, które firma ma obowiązek dostarczyć. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze sprawozdanie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Natpar?

W związku z tym, że produkt Natpar został warunkowo dopuszczony do obrotu, firma wprowadzająca produkt Natpar do obrotu przeprowadzi dodatkowe badania na potwierdzenie korzyści i ryzyka w związku ze stosowaniem leku i stosowności schematu dawkowania raz na dobę.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Natpar?

Firma, która wprowadza lek Natpar do obrotu, założy rejestr i będzie gromadzić długoterminowe dane na temat pacjentów leczonych produktem Natpar, z uwzględnieniem jego wpływu na kości, nerki i jakość życia pacjentów.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Natpar w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Natpar

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Natpar znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Natpar należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych, dotyczącej produktu Natpar znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).