



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/790608/2017
EMA/H/C/000942

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Nplate

Romiplostim

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Nplate. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Nplate zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Nplate benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Nplate und wofür wird es angewendet?

Nplate wird bei Patienten mit chronischer immuntrombozytopenischer Purpura (ITP) ab einem Alter von 1 Jahr angewendet. Bei dieser Erkrankung zerstört das Immunsystem der Patienten die eigenen Blutplättchen (Blutbestandteile, die zur Blutgerinnung beitragen). Patienten mit ITP weisen eine niedrige Blutplättchenzahl auf und neigen zu Blutungen.

Nplate wird angewendet, wenn die Behandlung mit Arzneimitteln wie Kortikosteroiden oder Immunglobulinen nicht wirksam war. Nplate kann bei Patienten angewendet werden, deren Milz entfernt wurde, um die Krankheit unter Kontrolle zu bringen, sowie bei jenen Patienten, die noch eine Milz haben. Die Milz, ein Organ hinter dem Magen, ist an der Entfernung von Blutplättchen aus dem Blut beteiligt.

Da es nur wenige Patienten mit ITP gibt, gilt die Krankheit als selten, und Nplate wurde am 27. Mai 2005 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Nplate enthält den Wirkstoff Romiplostim.

Wie wird Nplate angewendet?

Nplate ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte von einem Arzt mit Erfahrung in der Behandlung von Blutungsstörungen überwacht werden.



Nplate ist ein Pulver zur Herstellung einer Injektionslösung. Es wird einmal wöchentlich als Injektion unter die Haut verabreicht. Die Anfangsdosis richtet sich nach dem Gewicht des Patienten und wird dann angepasst, um die Blutplättchenzahl auf dem angestrebten Wert zu halten. Die Behandlung sollte beendet werden, wenn die Blutplättchenzahl nach 4 Wochen Behandlung mit der Höchstdosis von Nplate nicht hinreichend ansteigt, um das Risiko einer Blutung zu senken. Erwachsene, bei denen die Blutplättchenzahl stabil ist, können sich das Arzneimittel selbst spritzen, nachdem sie ordnungsgemäß geschult wurden.

Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wie wirkt Nplate?

Der Wirkstoff in Nplate, Romiplostim, regt die Bildung von Blutplättchen an. Ein Hormon mit der Bezeichnung „Thrombopoietin“ regt im Körper normalerweise die Bildung von Blutplättchen im Knochenmark an. Romiplostim wurde so entwickelt, dass es an die gleichen Ziele (Rezeptoren) wie Thrombopoietin bindet und diese anregt. Indem es die Wirkung von Thrombopoietin nachahmt, regt Romiplostim die Bildung von Blutplättchen an und erhöht so die Blutplättchenzahl und senkt das Risiko einer Blutung.

Welchen Nutzen hat Nplate in den Studien gezeigt?

Zwei Hauptstudien bei Erwachsenen und eine dritte bei Kindern kamen zu dem Ergebnis, dass Nplate bei der Behandlung von chronischer ITP wirksam ist. In allen Studien wurde Nplate mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Die Patienten wurden 24 Wochen lang behandelt. Hauptindikator für die Wirksamkeit war der Anstieg der Blutplättchenzahl über eine Grenze von 50 Millionen Blutplättchen je Milliliter Blut während mindestens 6 der letzten 8 Wochen der Behandlung. Eine Blutplättchenzahl unter 30 Millionen je Milliliter führt bei Patienten zum Risiko von Blutungen, während der Normalwert zwischen 150 und 400 Millionen je Milliliter liegt.

An der ersten Studie nahmen 63 Patienten teil, deren Erkrankung trotz Entfernung der Milz nicht kontrolliert werden konnte. Die Blutplättchenzahl stieg bei 38 % der Patienten (16 von 42), die Nplate erhalten hatten, über die Grenze, verglichen mit null der 21 Patienten, die Placebo erhalten hatten.

An der zweiten Studie nahmen 32 Patienten teil, deren ITP zuvor behandelt worden war (deren Milz jedoch nicht entfernt worden war). Die Blutplättchenzahl stieg bei 61 % der Patienten (25 von 41), die Nplate erhalten hatten, über die Grenze, verglichen mit 5 % der Patienten (1 von 21), die Placebo erhalten hatten.

In die Studie bei Kindern wurden 62 Patienten im Alter von 1 bis unter 18 Jahren aufgenommen, deren ITP zuvor behandelt worden war (einschließlich einiger Patienten, deren Milz entfernt worden war). Die Blutplättchenzahl stieg bei 52 % der Patienten (22 von 42), die Nplate erhalten hatten, über die Grenze, verglichen mit 10 % der Patienten (2 von 20), die Placebo erhalten hatten.

Langzeitstudien unter Beteiligung von mehr als 1 000 Patienten, von denen einige mehr als 5 Jahre lang behandelt wurden, bestätigten, dass Nplate sowohl bei Patienten, deren Milz entfernt worden war, als auch bei jenen Patienten, die eine Milz hatten, wirksam blieb.

Welche Risiken sind mit Nplate verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Nplate (die mehr als 1 von 10 Personen betreffen können) sind Kopfschmerzen, Infektionen der Nase und des Rachens sowie allergische Reaktionen (Überempfindlichkeitsreaktionen), wie etwa Hautausschlag, Juckreiz und rasche Schwellungen unter

der Haut. Die häufigsten Nebenwirkungen bei Kindern umfassen Infektionen der Nase und des Rachens, laufende Nase, Husten, Fieber, Mund- und Halsschmerzen, Bauchschmerzen, Durchfall, Hautausschlag und blaue Flecken. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Nplate berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Nplate darf nicht bei Patienten angewendet werden, die überempfindlich (allergisch) gegen Romiplostim, einen der sonstigen Bestandteile oder durch Escherichia coli (ein Bakterium) gebildete Proteine sind.

Warum wurde Nplate zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Nplate gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Die Agentur stellte fest, dass Nplate bei Patienten, deren Milz entfernt worden war, sowie bei Patienten, deren Milz nicht entfernt worden war, wirksam war. Die Verbesserung bei der Blutplättchenzahl war in beiden Gruppen langanhaltend und klinisch relevant, obwohl die Behandlung nur Symptome behandelt und die Erkrankung nicht heilt. Daher sollte bei Patienten mit intakter Milz die Möglichkeit einer Entfernung der Milz regelmäßig beurteilt werden.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Nplate ergriffen?

Das Unternehmen, das Nplate in Verkehr bringt, wird Ärzten einen „Dosiskalkulator“ zur Verfügung stellen, um die manchmal sehr geringe Menge Nplate zu ermitteln, die gespritzt werden muss. Ärzte können darüber hinaus ein Schulungspaket für die Verabreichung zu Hause erhalten, das Informationen enthält, wie Patienten, die sich Nplate selbst spritzen, geschult werden sollten; es enthält ferner Informationen für Patienten, wie das Arzneimittel zur Injektion vorzubereiten ist.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Nplate, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Nplate

Am 4. Februar 2009 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Nplate in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Nplate finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Nplate benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Nplate finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 12-2017 aktualisiert.