



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/614984/2018
EMA/H/C/000273

Rapamune (*sirolimus*)

Sammanfattning av Rapamune och varför det är godkänt inom EU

Vad är Rapamune och vad används det för?

Rapamune är ett läkemedel som används för att förhindra att kroppen stöter bort en nytransplanterad njure. Det ges till vuxna med låg till måttlig risk för avstötning. Rekommendationen är att Rapamune ska ges tillsammans med ciklosporin och kortikosteroider (andra läkemedel som förhindrar organavstötning) i två till tre månader. Rapamune kan sedan ges som underhållsbehandling med kortikosteroider, men endast under förutsättning att ciklosporinbehandlingen kan avslutas.

Rapamune används också för att behandla patienter med sporadisk lymfangioleiomyomatos (S-LAM) med måttlig lungsjukdom eller vars lungfunktion försämras. S-LAM är en sällsynt lungsjukdom som förvärrar symtom såsom andfåddhet och uppstår främst hos kvinnor i barnafödande ålder.

Rapamune innehåller den aktiva substansen sirolimus.

Hur används Rapamune?

Behandling med Rapamune ska inledas och övervakas av en läkare som är transplantationsspecialist. Läkemedlet är receptbelagt.

Rapamune finns som oral lösning (1 mg/ml) och tabletter (0,5 mg, 1 mg och 2 mg).

För att förhindra organavstötning ges den första dosen på 6 mg vanligtvis strax efter transplantationen, vilket följs av 2 mg dagligen. Läkaren kommer att justera dosen för att uppnå lämpliga halter av sirolimus i patientens blod.

För behandling av patienter med S-LAM ges dosen 2 mg Rapamune dagligen, och efter 10 till 20 dagar ska läkaren justera dosen för att uppnå lämpliga halter av sirolimus i patientens blod.

För att få mer information om hur du använder Rapamune, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.



Hur verkar Rapamune?

Den aktiva substansen i Rapamune, sirolimus, är ett immunsuppressivt medel (ett läkemedel som minskar immunsystemets aktivitet). I kroppen binder sirolimus till ett protein på insidan av celler och bildar ett så kallat komplex. Detta komplex blockerar sedan ett protein som kallas mTOR (mammalian target of rapamycin). Eftersom mTOR medverkar till att de aktiverade T-lymfocyterna (vita blodkroppar som angriper det transplanterade organet) förökar sig, minskar Rapamune antalet sådana celler och därmed också risken för organavstötning.

Vid S-LAM är mTOR överaktivt, vilket leder till en för stor förökning av cellerna som orsakar sjukdomen. Genom att blockera mTOR minskar Rapamune dessa cellers förökning.

Vilka fördelar med Rapamune har visats i studierna?

Förhindrad avstötning

Rapamune var effektivare än placebo (en överksam behandling) eller azatioprin (ett annat immunsuppressivt läkemedel) i två huvudstudier på sammanlagt 1 295 patienter som genomgick njurtransplantation. Alla patienter behandlades också med ciklosporin och kortikosteroider och hade en låg till måttlig risk för avstötning. Huvudeffektmaßttet var antalet fall av behandlingssvikt (avstötning eller förlust av den nya njuren eller dödsfall) efter 6 månader. I den första studien inträffade behandlingssvikt efter 6 månader hos 19 procent (53 av 284) av patienterna som fick tillägg med Rapamune, jämfört med 32 procent (52 av 161) av dem som fick tillägg med azatioprin. I den andra studien inträffade behandlingssvikt hos 30 procent (68 av 277) av patienterna som fick tillägg med Rapamune, jämfört med 48 procent (62 av 130) av patienterna som fick tillägg med placebo.

I två ytterligare studier undersöktes Rapamune som underhållsbehandling i upp till 5 år hos 765 patienter som kunde sluta ta ciklosporin efter 2 till 3 månader. Rapamune var effektivt när det gäller att förhindra avstötning av den nya njuren, med en förbättring av både dess funktion och blodtrycket när ciklosporinbehandlingen avbröts.

Behandling av S-LAM

Rapamune var effektivare än placebo när det gällde att förbättra lungfunktionen i en studie på 81 patienter med S-LAM. Huvudeffektmaßttet var förändringen av forcerad expiratorisk volym (FEV₁, den största volym luft en person kan andas ut på 1 sekund). FEV₁ förbättrades med i genomsnitt 1 ml per månad hos patienterna som behandlades med Rapamune, jämfört med en försämring på 12 ml per månad hos patienterna som fick placebo.

Vilka är riskerna med Rapamune?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Rapamune (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är infektioner, feber, långsam sårhäkning, lågt antal av olika blodkroppar, blodprov som visar på förändrade halter av olika ämnen (inräknat lågt kalium och fosfat; förhöjda halter av fetter, kolesterol, glukos och tecken på vävnadsnedbrytning och på lever- och njurfunktion), diabetes, lymfocele (ansamling av lymfvätska vanligtvis i underlivet), smärta i olika delar av kroppen, snabb hjärtrytm, förhöjt blodtryck, problem i tarmen, proteinuri (protein i urinen), menstruationsrubbingar, ödem (svullnad på grund av vätskeansamling), hudutslag och akne.

Patienter som är allergiska mot jordnötter eller soja får inte ta Rapamune oral lösning eftersom lösningen innehåller sojaolja.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Rapamune finns i bipacksedeln.

Varför är Rapamune godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att Rapamune är effektivt när det gäller att förhindra avstötning av en transplanterad njure hos patienter med låg till måttlig risk för avstötning. EMA noterade att inget läkemedel har godkänts för behandling av S-LAM, och Rapamunes effekt på lungfunktionen anses viktig. EMA fann att fördelarna med Rapamune är större än riskerna och att Rapamune skulle godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Rapamune?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Rapamune har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Rapamune kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Rapamune utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder för att skydda patienter vidtas.

Mer information om Rapamune

Den 14 mars 2001 beviljades Rapamune ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Rapamune finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 07-2018.