



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/471783/2017
EMA/H/C/004095

Резюме на EPAR за обществено ползване

Rydapt midostaurin

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Rydapt. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Rydapt.

За практическа информация относно употребата на Rydapt, пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Rydapt и за какво се използва?

Rydapt е лекарство за рак, което се използва за лечение на възрастни с новодиагностицирана остра миелоидна левкемия (ОМЛ) — рак на белите кръвни клетки. То се използва първоначално заедно с други лекарства за рак (химиотерапия) или самостоятелно след приключване на химиотерапията, ако заболяването се повлиява от лечението. Rydapt се прилага само когато ОМЛ има определена генетична промяна, наречена FLT3 мутация.

Rydapt се използва и самостоятелно при възрастни със следните нарушения на вид бели кръвни клетки, известни като мастоцити: агресивна системна мастоцитоза, системна мастоцитоза, свързана с хематологична неоплазма (рак на кръвта), и мастоклетъчна левкемия.

Тъй като броят на пациентите е малък, тези болести се считат за „редки“ и Rydapt е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на различни дати (вж. по-долу).

Rydapt съдържа активното вещество мидостаурин (midostaurin).



Как се използва Rydapt?

Rydapt се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато от лекар с опит в използването на лекарства за рак. Rydapt се предлага под формата на капсули, съдържащи 25 mg мидостаурин. Обичайната начална доза е 50 mg (две капсули) два пъти на ден за ОМЛ, от 8-ия до 21-ия ден на 28-дневен цикъл на лечение, и след това веднъж дневно, след повлияване на заболяването. Лечението продължава до 12 цикъла в зависимост от повлияването на пациентите. При нарушения на мастоцитите началната доза е 100 mg (четири капсули) два пъти дневно; лечението продължава, докато пациентът изпитва полза. Ако даден пациент развие определени тежки нежелани лекарствени реакции, лекарят може да реши да намали последващите дози или да отложи, или да прекрати лечението.

За повече информация вижте листовката.

Как действа Rydapt?

Активното вещество в Rydapt, мидостаурин, е „инхибитор на тирозин киназа“. Това означава, че блокира действието на определени ензими, известни като рецептори на тирозин киназа. При пациенти с FLT3 мутация аномалната форма на FLT3 тирозин киназа стимулира оцеляването и растежа на ОМЛ клетки. Като блокира аномалния FLT3 ензим, Rydapt помага за умъртвяването на аномалните клетки и контролира разпространението на рака. Rydapt блокира също мутиралата форма на друг ензим, KIT киназа, който изпълнява важна роля за стимулирането на аномалния растеж на мастоцитите при пациенти с нарушения на мастоцитите.

Какви ползи от Rydapt са установени в проучванията?

Установено е, че Rydapt подобрява преживяемостта при пациенти с ОМЛ, свързана с FLT3 мутация. В едно основно проучване, обхващащо 717 такива пациенти, Rydapt е сравнен с плацебо (сляпо лечение) отначало като добавяне към други лекарства за рак, а след това като лечение с Rydapt или плацебо самостоятелно при тези, чието заболяване се повлиява. Около 51 % от пациентите, които приемат Rydapt, и 43 % от приемащите плацебо все още са живи след 5 години.

В друго основно проучване, обхващащо 116 пациенти с нарушения на мастоцитите, също е установена полза. В проучването се разглежда повлияването от лечението с Rydapt при пациенти с агресивна системна мастоцитоза, системна мастоцитоза, свързана с рак на кръвта, или мастоклетъчна левкемия. Като цяло, използвайки най-строгите съвременни критерии, заболяването се повлиява от лечението при около 28 % от пациентите (32 от 113). Когато се разглежда отделно, процентът на повлияване е най-висок (60 %) при пациентите с агресивна системна мастоцитоза.

Какви са рисковете, свързани с Rydapt?

Когато се използва за лечение на ОМЛ, най-честите нежелани лекарствени реакции при Rydapt (които е възможно да засегнат повече от 1 на 10 души) са фебрилна неутропения (повишена температура и нисък брой на белите кръвни клетки, наблюдавани при почти всички пациенти), ексфолиативен дерматит (възпалена, лющеща се кожа), повръщане, главоболие, петехия (малки точковидни кръвоизливи под кожата) и повишена температура. Най-честите тежки нежелани лекарствени реакции са фебрилна неутропения, лимфопения (нисък брой на лимфоцити, определен вид бели кръвни клетки), инфекции на мястото на катетъра (тръбичка, въведена във вена), ексфолиативен дерматит, висока кръвна захар и гадене (позиви за повръщане).

Когато се използва за нарушения на мастоцитите, най-честите нежелани лекарствени реакции (засягащи една трета или повече от всички пациенти) са гадене, повръщане, диария, периферен едем (подуване на глезените и краката) и умора. Най-честите тежки нежелани лекарствени реакции са умора, сепсис (отравяне на кръвта), пневмония (белодробна инфекция), фебрилна неутропения и диария.

За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Rydapt, вижте листовката.

Rydapt не трябва да се прилага при пациенти, приемащи някои други лекарства, които влияят на начина, по който лекарството се третира в организма. За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

Защо Rydapt е разрешен за употреба?

Установено е, че Rydapt е от полза при пациенти с ОМЛ, свързана с FLT3 мутация. Безопасността на лекарството е приемлива при такова тежко заболяване и се счита за подлежаща на овладяване.

При нарушения на мастоцитите също има важни доказателства за ефективност. Въпреки че Rydapt не е сравняван с други лечения, предвид рядкостта на заболяванията и неудовлетворената медицинска нужда на пациенти с такива заболявания, клиничните ползи са ясни, а нежеланите ефекти са приемливи.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от Rydapt са по-големи от рисковете и препоръча да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Rydapt?

Фирмата, която предлага Rydapt, ще завърши три допълнителни проучвания, за да предостави на Агенцията доказателства в подкрепа на ефективността на лекарството при пациенти в напреднала възраст с ОМЛ.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Rydapt, които да се спазват от здравните специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Допълнителна информация за Rydapt

Пълният текст на EPAR за Rydapt може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. За повече информация относно лечението с Rydapt прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Rydapt може да се намери на уебсайта на Агенцията:

[остра миелоидна левкемия](#)

[мастоцитоза](#).