



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Rydapt

midostaurinum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Rydapt. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Rydapt používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Rydapt, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Rydapt a k čemu se používá?

Rydapt je protinádorový léčivý přípravek, který se používá k léčbě dospělých s nově diagnostikovanou akutní myeloidní leukémií, což je druh rakoviny postihující bílé krvinky. Na začátku se používá spolu s dalšími protinádorovými léčivými přípravky (chemoterapií), a pokud onemocnění na léčbu reagovalo, přípravek se po ukončení chemoterapie podává samostatně. Přípravek Rydapt se podává pouze tehdy, pokud má akutní myeloidní leukémie specifickou genetickou změnu zvanou mutace FLT3 genu.

Přípravek Rydapt se používá samostatně rovněž u dospělých s následujícími poruchami typu bílých krvinek zvaných žírné buňky: agresivní systémová mastocytóza, systémová mastocytóza spojená s dalším hematologickým onemocněním (rakovinou krve) a mastocytární leukémie.

Jelikož počet pacientů s uvedenými onemocněními je nízký, tato onemocnění se považují za zřídka se vyskytující a přípravek Rydapt byl k určitým datům (viz níže) označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Rydapt obsahuje léčivou látku midostaurin.



Jak se přípravek Rydapt používá?

Výdej přípravku Rydapt je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla být zahájena lékařem, který má zkušenosti s používáním protinádorových léčivých přípravků. Přípravek Rydapt je k dispozici ve formě tobolek obsahujících 25 mg midostaurinu. Při léčbě akutní myeloidní leukemie je obvyklá počáteční dávka 50 mg (dvě tablety) dvakrát denně 8. až 21. den 28denního léčebného cyklu a následně každý den, pokud onemocnění odpovědělo na léčbu. Léčba pokračuje po dobu až 12 cyklů v závislosti na reakci pacientů. U onemocnění žírných buněk je počáteční dávka 100 mg (čtyři tablety) dvakrát denně, přičemž léčba by měla pokračovat tak dlouho, dokud je pro pacienta přínosná. Pokud se u pacienta objeví některé závažné nežádoucí účinky, může se lékař rozhodnout snížit následující dávky nebo léčbu odložit nebo přerušit.

Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

Jak přípravek Rydapt působí?

Léčivá látka v přípravku Rydapt, midostaurin, je „inhibitor tyrosinkinázy“. Znamená to, že blokuje aktivitu určitých enzymů známých jako receptor tyrosinkináz. U pacientů s mutací FLT3 genu stimuluje abnormální forma FLT3 tyrosinkináza přežívání a růst buněk akutní myeloidní leukemie. Blokováním abnormálního enzymu FLT3 navozuje přípravek Rydapt úhyn abnormálních buněk a kontroluje šíření rakoviny. Přípravek Rydapt také blokuje mutovanou formu jiného enzymu, KIT kinázy, který hraje důležitou roli při stimulaci abnormálního růstu žírných buněk u pacientů s onemocněním žírných buněk.

Jaké přínosy přípravku Rydapt byly prokázány v průběhu studií?

Bylo prokázáno, že přípravek Rydapt zlepšuje přežití u pacientů s akutní myeloidní leukemií spojenou s mutací FLT3 genu. Jedna hlavní studie, která zahrnovala 717 takových pacientů, porovnávala přípravek Rydapt s placebem (léčbou neúčinným přípravkem), kdy přípravek Rydapt či placebo byly zpočátku přidány k jiným protinádorovým léčivým přípravkům, přičemž poté následovala léčba přípravkem Rydapt nebo samotným placebem u těch pacientů, jejichž onemocnění na léčbu reagovalo. Přibližně 51 % pacientů užívajících přípravek Rydapt a 43 % pacientů, kterým bylo podáváno placebo, bylo po pěti letech stále naživu.

Další hlavní studie, která zahrnovala 116 pacientů s onemocněním žírných buněk, rovněž prokázala přínos přípravku. Studie zkoumala odpověď na léčbu přípravkem Rydapt u pacientů s agresivní systémovou mastocytózou, systémovou mastocytózou spojenou s rakovinou krve nebo u pacientů s mastocytární leukemií. Celkově za použití nejpřísnějších a nejnovějších kritérií odpovědělo onemocnění na léčbu přibližně u 28 % pacientů (32 ze 113). Při samostatném pozorování byl výskyt odpovědi nejvyšší (60 %) u pacientů s agresivní systémovou mastocytózou.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Rydapt?

Při léčbě akutní myeloidní leukemie jsou nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Rydapt (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) febrilní neutropenie (horečka a nízký počet bílých krvinek, což bylo pozorováno téměř u všech pacientů), exfoliativní dermatitida (zánět, olupování kůže), zvracení, bolest hlavy, petechie (drobné krevní skvrny pod kůží) a horečka. Nejčastějšími závažnými nežádoucími účinky byly febrilní neutropenie, lymfopenie (nízké počty lymfocytů, což je určitý druh bílých krvinek), infekce v místě katetru (trubičky zavedené do žíly), exfoliativní dermatitida, vysoká hladina cukru v krvi a nauzea (pocit nevolnosti).

Při užívání přípravku u onemocnění žírných buněk byly jeho nejčastějšími nežádoucími účinky (postihujícími jednu třetinu všech pacientů nebo více) nevolnost, zvracení, průjem, periferní edém

(otoky kotníků a nohou) a únava. Nejčastějšími závažnými nežádoucími účinky byly únava, sepse (otrava krve), pneumonie (infekce plic), febrilní neutropenie a průjem.

Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Rydapt je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Rydapt se nesmí podávat u pacientů, kteří užívají některé další léčivé přípravky ovlivňující způsob odbourávání přípravku Rydapt v těle. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Rydapt schválen?

Přípravek Rydapt byl přínosný u pacientů s akutní myeloidní leukémií spojenou s mutací FTL3 genu. Bezpečnost tohoto léčivého přípravku byla u tak závažného onemocnění přijatelná a byla posouzena jako za zvládnutelná.

Také u onemocnění žírných buněk byly k dispozici důležité důkazy o účinnosti. Přestože přípravek Rydapt nebyl porovnáván s jinými typy léčby, byly vzhledem k vzácnosti onemocnění a nenaplněné lékařské potřebě pacientů, kteří těmito onemocněními trpí, klinické přínosy považovány za jednoznačné a nežádoucí účinky za přijatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky tedy rozhodla, že přínosy přípravku Rydapt převyšují jeho rizika, a proto doporučila, aby byl schválen k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Rydapt?

Společnost, která přípravek Rydapt dodává na trh, dokončí tři další studie, které agentuře poskytnou důkazy na podporu účinnosti tohoto léčivého přípravku u starších pacientů s akutní myeloidní leukémií.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Rydapt, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Rydapt

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Rydapt je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reportsema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reportsema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Rydapt naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Rydapt vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury:

[akutní myeloidní leukémie](#),

[mastocytóza](#).