



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR – sammendrag for offentligheden

Rydapt

midostaurin

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Rydapt. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Rydapt bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Rydapt, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Rydapt, og hvad anvendes det til?

Rydapt anvendes til at behandle patienter med nydiagnosticeret akut myeloid leukæmi (AML), en form for kræft i de hvide blodlegemer. Det bruges indledningsvis sammen med andre kræftlægemidler (kemoterapi) og derefter som enebehandling, når kemoterapien er afsluttet, og hvis sygdommen har reageret på behandlingen. Rydapt gives kun til AML-patienter, der har en bestemt genetisk forandring kaldet FLT3-mutation.

Rydapt anvendes også som enebehandling hos voksne med følgende forstyrrelser i de såkaldte mastceller, en type hvide blodlegemer: aggressiv systemisk mastocytose, systemisk mastocytose forbundet med hæmatologiske neoplasmer (blodkræft) samt mastecelle-leukæmi.

Da antallet af patienter med disse sygdomme er lavt, betragtes de som "sjældne", og Rydapt blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" på forskellige datoer (se nedenfor).

Rydapt indeholder det aktive stof midostaurin.

Hvordan anvendes Rydapt?

Rydapt udleveres kun efter recept, og behandlingen skal iværksættes af en læge med erfaring i brug af kræftlægemidler. Rydapt fås som kapsler, der indeholder 25 mg midostaurin. Ved AML er den

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



sædvanlige startdosis 50 mg (to kapsler) to gange dagligt dag 8-21 i en 28-dages behandlingscyklus, og derefter hver dag, når sygdommen har reageret på behandlingen. Behandlingen fortsættes i op til 12 cyklusser alt efter patientens reaktion på behandlingen. Ved mastcelleforstyrrelser er startdosis 100 mg (fire kapsler) to gange dagligt, og behandlingen fortsættes, så længe patienten har gavn af den. Hvis en patient får visse alvorlige bivirkninger, kan lægen beslutte at nedsætte de efterfølgende doser eller udskyde eller standse behandlingen.

De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Rydapt?

Det aktive stof i Rydapt, midostaurin, er en såkaldt "tyrosinkinasehæmmer". Det vil sige, at stoffet blokerer aktiviteten af bestemte enzymer kaldet receptortyrosinkinase-enzymet. Hos patienter med en FLT3-mutation stimulerer en unormal udgave af FLT3-tyrosinkinase-enzymet AML-cellernes overlevelse og vækst. Ved at blokere det unormale FLT3-enzym hjælper Rydapt med at få de unormale celler til at dø og forhindre, at kræften spreder sig. Rydapt blokerer også for en muteret form af et andet enzym, KIT-kinase, der spiller en vigtig rolle for stimulationen af mastcellernes unormale vækst hos patienter med mastcelleforstyrrelser.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Rydapt?

Det er påvist, at Rydapt forbedrer overlevelsen hos AML-patienter, der har en FLT3-mutation. I en hovedundersøgelse med 717 AML-patienter med FLT3-mutation blev Rydapt sammenlignet med placebo (et uvirksomt stof), først som tillægsbehandling til andre kræftlægemidler, og derefter med Rydapt eller placebo som enebehandling hos de patienter, hvis sygdom reagerede på behandlingen. Ca. 51 % af dem, der fik Rydapt, og ca. 43 % af dem, der fik placebo, var stadig i live efter 5 år.

En anden hovedundersøgelse af 116 patienter med mastcelleforstyrrelser viste, at disse patienter også havde gavn af Rydapt. Undersøgelsen vurderede reaktionen på behandling med Rydapt hos patienter med aggressiv systemisk mastocytose, systemisk mastocytose forbundet med blodkræft eller mastcelleleukæmi. Ud fra de mest stringente, tidssvarende kriterier reagerede disse sygdomme samlet set på behandlingen hos ca. 28 % af patienterne (32 ud af 113). Hvis man ser på sygdommene hver for sig, var responsraten højest (60 %) hos de patienter, der havde aggressiv systemisk mastocytose.

Hvilke risici er der forbundet med Rydapt?

Når Rydapt anvendes til behandling af AML, er de hyppigste bivirkninger (der kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) febril neutropeni (feber og lavt antal hvide blodlegemer (ses hos næsten alle patienter)), betændt, afskallende hud (eksfoliativ dermatitis), opkastning, hovedpine, petekkier (små mørkerøde pletter under huden) og feber. De hyppigste alvorlige bivirkninger er febril neutropeni, lymfopeni (lavt antal lymfocytter, en særlig type hvide blodlegemer), infektion på indstiksstedet for kateteret (lille plasticslange anlagt i en blodåre), eksfoliativ dermatitis, højt blodsukker og kvalme.

Når Rydapt anvendes til behandling af mastcelleforstyrrelser, er de hyppigste bivirkninger (der forekommer hos mindst en tredjedel af alle patienter) kvalme, opkastning, diarré, perifert ødem (hævede ankler og fødder) og træthed. De hyppigste alvorlige bivirkninger var træthed, sepsis (blodforgiftning), pneumoni (lungebetændelse), febril neutropeni og diarré.

Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Rydapt fremgår af indlægssedlen.

Rydapt må ikke gives til patienter, der får visse andre lægemidler, som kan påvirke kroppens reaktion på Rydapt. Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Rydapt godkendt?

Det er påvist, at Rydapt har gavnlig effekt hos AML-patienter, der har en FTL3-mutation. Lægemidlets sikkerhed er acceptabel for så alvorlig en sygdom og vurderes at være håndterbar.

Ved mastcelleforstyrrelser var der også væsentlig evidens for virkningen. Selvom Rydapt ikke er blevet sammenlignet med andre behandlinger, da der er tale om sjældne sygdomme og et uopfyldt medicinsk behov for de pågældende patienter, var den kliniske nytte åbenlys, og bivirkningerne var acceptable.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Rydapt opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Rydapt?

Den virksomhed, der markedsfører Rydapt, skal gennemføre tre supplerende undersøgelser og fremsende dokumentation til agenturet til understøttelse af lægemidlets virkning hos ældre patienter med AML.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Rydapt.

Andre oplysninger om Rydapt

Den fuldstændige EPAR for Rydapt findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Rydapt, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Rydapt findes på agenturets websted:

[akut myeloid leukæmi](#)

[mastocytose](#).