



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Rydapt

Midostaurin

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Rydapt. 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 Rydapt zu verstehen.

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

Was ist Rydapt und wofür wird es angewendet?

Rydapt ist ein Krebsarzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen mit neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie (AML), einer Art von Krebs der weißen Blutkörperchen. Es wird anfangs zusammen mit anderen Krebsarzneimitteln (Chemotherapie) und nach Abschluss der Chemotherapie alleine angewendet, wenn die Krankheit auf die Behandlung angesprochen hat. Rydapt wird nur verabreicht, wenn die AML eine bestimmte genetische Veränderung, die als FLT3-Mutation bezeichnet wird, aufweist.

Rydapt wird auch alleine bei Erwachsenen mit den folgenden Erkrankungen eines bestimmten Typs der weißen Blutkörperchen, der sogenannten Mastzellen, angewendet: aggressive systemische Mastozytose, systemische Mastozytose mit assoziierter hämatologischer Neoplasie (Blutkrebs) oder Mastzelleukämie.

Da es nur wenige Patienten mit diesen Krankheiten gibt, gelten die Krankheiten als selten, und Rydapt wurde verschiedentlich (Datumsangaben siehe unten) als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Rydapt enthält den Wirkstoff Midostaurin.

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



Wie wird Rydapt angewendet?

Rydapt ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte von einem in der Anwendung von Krebsarzneimitteln erfahrenen Arzt eingeleitet werden. Rydapt ist als Kapseln mit 25 mg Midostaurin erhältlich. Die übliche Anfangsdosis bei AML beträgt 50 mg (zwei Kapseln) zweimal täglich an den Tagen 8 bis 21 eines 28-tägigen Behandlungszyklus und danach einmal täglich, sobald die Krankheit auf die Behandlung angesprochen hat. Die Behandlung wird je nach Ansprechen des Patienten bis zu zwölf Zyklen lang fortgesetzt. Bei Mastzellerkrankungen beträgt die Anfangsdosis 100 mg (vier Kapseln) zweimal täglich; die Behandlung wird so lange fortgesetzt, wie ein Nutzen für den Patienten besteht. Treten bei einem Patienten bestimmte schwere Nebenwirkungen auf, kann der Arzt entscheiden, die nachfolgenden Dosen zu reduzieren oder die Behandlung zu verzögern oder abzusetzen.

Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wie wirkt Rydapt?

Der Wirkstoff in Rydapt, Midostaurin, ist ein „Tyrosinkinase-Inhibitor“. Dies bedeutet, dass er die Aktivität bestimmter Enzyme blockiert, die als Rezeptortyrosinkinasen bezeichnet werden. Bei Patienten mit einer FLT3-Mutation stimuliert eine abnormale Form der Tyrosinkinase FLT3 das Überleben und das Wachstum von AML-Zellen. Durch Blockieren des abnormalen FLT3-Enzyms hilft Rydapt, die abnormalen Zellen abzutöten und die Verbreitung des Krebses unter Kontrolle zu bringen. Rydapt blockiert auch eine mutierte Form eines anderen Enzyms, der Kinase KIT, die eine wichtige Rolle bei der Stimulation des abnormalen Wachstums der Mastzellen bei Patienten mit Mastzellerkrankungen spielt.

Welchen Nutzen hat Rydapt in den Studien gezeigt?

Es wurde nachgewiesen, dass Rydapt das Überleben bei Patienten mit AML im Zusammenhang mit einer FLT3-Mutation verbessert. In einer Hauptstudie, an der 717 solcher Patienten teilnehmen, wurde Rydapt mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen, die zu Beginn zusätzlich zu einem anderen Krebsarzneimittel gegeben wurden, gefolgt von einer Behandlung mit Rydapt oder Placebo allein bei Patienten, deren Krankheit angesprochen hatte. Etwa 51 % der Patienten, die Rydapt erhalten hatten, und 43 % der Patienten, die Placebo erhalten hatten, lebten nach fünf Jahren noch.

Eine weitere Hauptstudie unter Beteiligung von 116 Patienten mit Mastzellerkrankungen zeigte ebenfalls einen Nutzen. Die Studie betrachtete das Ansprechen auf die Behandlung mit Rydapt bei Patienten mit aggressiver systemischer Mastozytose, systemischer Mastozytose mit assoziiertem Blutkrebs oder Mastzelleukämie. Zieht man die strengsten aktuellsten Kriterien heran, sprach die Erkrankung bei etwa 28 % der Patienten (32 von 113) auf die Behandlung an. Bei separater Betrachtung war die Ansprechrate am höchsten (60 %) bei Patienten mit aggressiver systemischer Mastozytose.

Welche Risiken sind mit Rydapt verbunden?

Bei Anwendung zur Behandlung von AML sind sehr häufige Nebenwirkungen von Rydapt (die mehr als 1 von 10 Personen betreffen können) febrile Neutropenie (Fieber und niedrige Leukozytenzahl, wurde bei fast allen Patienten beobachtet), Dermatitis exfoliativa (entzündete, sich abschälende Haut), Erbrechen, Kopfschmerzen, Petechien (kleine Blutpunkte unter der Haut) und Fieber. Die häufigsten schweren Nebenwirkungen waren febrile Neutropenie, Lymphopenie (niedrige Zahlen der Lymphozyten, einer bestimmten Art von weißen Blutkörperchen), Infektionen an der Stelle des

Katheters (ein in eine Vene eingeführter Schlauch), Dermatitis exfoliativa, hohe Blutzuckerspiegel und Übelkeit.

Bei Anwendung zur Behandlung von Mastzellerkrankungen sind sehr häufige Nebenwirkungen (die ein Drittel aller Patienten oder mehr betreffen können) Übelkeit, Erbrechen, Durchfall, peripheres Ödem (Anschwellen der Knöchel und Füße) und Müdigkeit. Die häufigsten schweren Nebenwirkungen waren Müdigkeit, Sepsis (Blutvergiftung), Pneumonie (Lungeninfektion), febrile Neutropenie und Durchfall.

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Rydapt berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Rydapt darf bei Patienten, die bestimmte andere Arzneimittel einnehmen, die dessen Abbau im Körper beeinflussen, nicht angewendet werden. Die vollständige Auflistung der Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Rydapt zugelassen?

Es wurde nachgewiesen, dass Rydapt für Patienten mit AML im Zusammenhang mit einer FTL3-Mutation von Nutzen ist. Die Sicherheit des Arzneimittels war angesichts der schweren Erkrankung akzeptabel und wurde als beherrschbar erachtet.

Für Mastzellenerkrankungen ergaben sich gleichfalls starke Nachweise für die Wirksamkeit. Obwohl Rydapt nicht mit anderen Behandlungen verglichen worden war, war der klinische Nutzen angesichts der Seltenheit der Erkrankungen und des ungedeckten medizinischen Bedarfs der betroffenen Patienten deutlich, und die Nebenwirkungen waren akzeptabel.

Daher gelangte die Europäische Arzneimittel-Agentur zu dem Schluss, dass der Nutzen von Rydapt gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen.

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

Das Unternehmen, das Rydapt in Verkehr bringt, wird drei weitere Studien abschließen, um der Agentur Nachweise zur Stützung der Wirksamkeit des Arzneimittels bei älteren Patienten mit AML vorzulegen.

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

Weitere Informationen über Rydapt

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Rydapt finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Rydapt benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassungen der Gutachten des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Rydapt finden Sie auf der Website der Agentur:

[akute myeloische Leukämie](#)

[Mastozytose](#).