



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Rydapt

μιντοσταυρίνη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Rydapt. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Rydapt.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του Rydapt, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευτούν το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Rydapt και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Rydapt είναι ένα αντικαρκινικό φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων με νεοδιαγνωσμένη οξεία μυελογενή λευχαιμία (ΟΜΛ), ένας τύπος καρκίνου των λευκών αιμοσφαιρίων. Χρησιμοποιείται μαζί με άλλα αντικαρκινικά φάρμακα (χημειοθεραπεία) αρχικά και κατόπιν μόνο του, αφού ολοκληρωθεί η χημειοθεραπεία και εφόσον ο ασθενής έχει ανταποκριθεί στη θεραπεία. Το Rydapt χορηγείται μόνο σε περίπτωση ΟΜΛ με μια συγκεκριμένη γενετική αλλαγή που ονομάζεται μετάλλαξη FLT3.

Το Rydapt χρησιμοποιείται επίσης μόνο του σε ενήλικες με τις ακόλουθες διαταραχές ενός τύπου λευκών αιμοσφαιρίων που είναι γνωστά ως μαστοκύτταρα: επιθετική συστηματική μαστοκυττάρωση, συστηματική μαστοκυττάρωση με συνοδό αιματολογικό νεόπλασμα (καρκίνος του αίματος) και μαστοκυτταρική λευχαιμία.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με αυτές τις ασθένειες και, άρα, της σπανιότητάς τους, το Rydapt χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) σε διάφορες ημερομηνίες (βλέπε κατωτέρω).

Το Rydapt περιέχει τη δραστική ουσία μιντοσταυρίνη.

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



Πώς χρησιμοποιείται το Rydapt;

Το Rydapt χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή, η δε έναρξη της θεραπείας θα πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό έμπειρο στη χρήση αντικαρκινικών φαρμάκων. Το Rydapt διατίθεται υπό μορφή καψακίων που περιέχουν 25 mg μιντοσταυρίνης. Η συνήθης δόση έναρξης είναι 50 mg (δύο καψάκια) δύο φορές την ημέρα για την ΟΜΛ, τις ημέρες 8 έως 21 ενός κύκλου θεραπείας διάρκειας 28 ημερών και, κατόπιν, κάθε ημέρα μόλις ο ασθενής ανταποκριθεί. Η θεραπεία συνεχίζεται για έως και 12 κύκλους ανάλογα με την ανταπόκριση των ασθενών. Για διαταραχές των μαστοκυττάρων, η δόση έναρξης είναι 100 mg (τέσσερα καψάκια) δύο φορές την ημέρα και η θεραπεία συνεχίζεται για όσο διάστημα παρατηρείται όφελος για τον ασθενή. Σε περίπτωση που ο ασθενής εμφανίσει ορισμένες σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες, ο γιατρός ενδέχεται να αποφασίσει τη μείωση των επόμενων δόσεων, την αναβολή ή τη διακοπή της θεραπείας.

Για περισσότερες πληροφορίες, ανατρέξτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Πώς δρα το Rydapt;

Η δραστική ουσία του Rydapt, η μιντοσταυρίνη, είναι «αναστολέας της τυροσινικής κινάσης». Αυτό σημαίνει ότι αποκλείει τη δράση ορισμένων ενζύμων που είναι γνωστά ως υποδοχείς τυροσινικών κινασών. Σε ασθενείς με μετάλλαξη FLT3, μια μη φυσιολογική μορφή της τυροσινικής κινάσης FLT3 διεγείρει την επιβίωση και την ανάπτυξη των κυττάρων ΟΜΛ. Μέσω του αποκλεισμού του μη φυσιολογικού ενζύμου FLT3, το Rydapt προκαλεί τον θάνατο των μη φυσιολογικών κυττάρων και συμβάλλει στον έλεγχο της εξάπλωσης του καρκίνου. Το Rydapt επίσης αποκλείει τη μεταλλαγμένη μορφή ενός άλλου ενζύμου, της κινάσης KIT, η οποία διαδραματίζει σημαντικό ρόλο στη διέγερση της μη φυσιολογικής ανάπτυξης των μαστοκυττάρων σε ασθενείς με διαταραχές των μαστοκυττάρων.

Ποια είναι τα οφέλη του Rydapt σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Rydapt έχει αποδειχθεί ότι βελτιώνει την επιβίωση σε ασθενείς με ΟΜΛ και συνοδό μετάλλαξη FLT3. Μία κύρια μελέτη, στην οποία συμμετείχαν 717 ασθενείς, συνέκρινε το Rydapt με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) αρχικά ως συμπλήρωμα σε άλλα αντικαρκινικά φάρμακα, ενώ στη συνέχεια οι ασθενείς που ανταποκρίθηκαν έλαβαν θεραπεία μόνο με Rydapt ή εικονικό φάρμακο. Περίπου 51% όσων έλαβαν Rydapt και 43% όσων έλαβαν εικονικό φάρμακο εξακολουθούσαν να είναι ζωντανοί μετά από 5 έτη.

Μια άλλη κύρια μελέτη στην οποία συμμετείχαν 116 ασθενείς με διαταραχές μαστοκυττάρων κατέδειξε επίσης όφελος. Η μελέτη εξέτασε την ανταπόκριση στη θεραπεία με Rydapt ασθενών με επιθετική συστηματική μαστοκυττάρωση, συστηματική μαστοκυττάρωση με συνοδό καρκίνο του αίματος ή μαστοκυτταρική λευχαιμία. Γενικά, με βάση τα πιο αυστηρά, σύγχρονα κριτήρια, οι ασθενείς ανταποκρίθηκαν στη θεραπεία σε ποσοστό περίπου 28% (32 στους 113). Αν εξεταστεί το ποσοστό χωριστά, διαπιστώθηκε ότι ήταν το πιο υψηλό (60%) στους ασθενείς με επιθετική συστηματική μαστοκυττάρωση.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Rydapt;

Όταν χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της ΟΜΛ, οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Rydapt (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι εμπύρετη ουδετεροπενία (πυρετός και μικρός αριθμός λευκών αιμοσφαιρίων, που παρατηρήθηκαν σε όλους σχεδόν τους ασθενείς), αποφολιδωτική δερματίτιδα (φλεγμονή, απολέπιση του δέρματος), έμετος, κεφαλαλγία, πετέχειες (μικροσκοπικές κηλίδες αίματος κάτω από το δέρμα) και πυρετός. Οι συχνότερες σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες ήταν εμπύρετη ουδετεροπενία, λεμφοπενία (μικρός αριθμός λεμφοκυττάρων, ένας συγκεκριμένος τύπος λευκών αιμοσφαιρίων), λοιμώξεις στην περιοχή του καθετήρα (σωλήνας που

εισάγεται σε φλέβα), αποφολιδωτική δερματίτιδα, υψηλό επίπεδο σακχάρου στο αίμα και ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας).

Όταν χρησιμοποιείται για διαταραχές των μαστοκυττάρων, οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες (οι οποίες επηρεάζουν τουλάχιστον το ένα τρίτο όλων των ασθενών) ήταν ναυτία, έμετος, διάρροια, περιφερικό οίδημα (πρήξιμο στους αστραγάλους και στα πόδια) και κόπωση. Οι πιο συχνές σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες ήταν κόπωση, σήψη (βακτηραιμία), πνευμονία (λοίμωξη των πνευμόνων), εμπύρετη ουδετεροπενία και διάρροια.

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Rydapt περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Rydapt δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που λαμβάνουν ορισμένα άλλα φάρμακα, τα οποία επηρεάζουν τον τρόπο δράσης του στον οργανισμό. Ο πλήρης κατάλογος των περιορισμών περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Rydapt;

Το Rydapt έχει αποδειχθεί ωφέλιμο σε ασθενείς με ΟΜΛ και συνοδό μετάλλαξη FTL3. Η ασφάλεια του φαρμάκου ήταν αποδεκτή σε μια τόσο σοβαρή πάθηση και θεωρήθηκε διαχειρίσιμη.

Όσον αφορά τις διαταραχές των μαστοκυττάρων, υπήρξαν επίσης σημαντικά στοιχεία αποτελεσματικότητας. Παρόλο που το Rydapt δεν είχε συγκριθεί με άλλες θεραπείες, δεδομένης της σπανιότητας των παθήσεων και της ανεκπλήρωτης ιατρικής ανάγκης των ασθενών που πάσχουν από αυτές, τα κλινικά οφέλη ήταν σαφή και οι ανεπιθύμητες ενέργειες ήταν αποδεκτές.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Rydapt υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Rydapt;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Rydapt θα ολοκληρώσει τρεις περαιτέρω μελέτες προκειμένου να παράσχει στον Οργανισμό στοιχεία υπέρ της αποτελεσματικότητας του φαρμάκου σε ηλικιωμένους ασθενείς με ΟΜΛ.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Rydapt.

Λοιπές πληροφορίες για το Rydapt

Η πλήρης EPAR του Rydapt διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Rydapt, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Rydapt διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση:

[οξεία μυελογενής λευχαιμία](#)

[μαστοκυττάρωση](#).