



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Rydapt

midostauriin

See on ravimi Rydapt Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloo andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Rydapti kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Rydapti kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Mis on Rydapt ja milleks seda kasutatakse?

Rydapt on vähiravim, mida kasutatakse täiskasvanud patsientide raviks, kellel on äsja diagnoositud äge müeloidleukeemia (AML), vere teatud valgeliblede vähi liik. Alguses kasutatakse Rydapti koos muude vähiravimitega (keemiaraviga) ning juhul, kui haigus on ravile reageerinud, jätkatakse pärast keemiaravi lõppu ainult Rydapti kasutamist. Rydapti kasutatakse ainult siis, kui AML-i korral esineb spetsiifiline geneetiline muutus, mida nimetatakse FLT3-mutatsiooniks.

Ainsa ravimina kasutatakse Rydapti täiskasvanutel, kellel esineb teatud tüüpi valgelible – nuumraku – häire: agressiivne süsteemne mastotsütoos, vereloomekasvajaga (verevähiga) seotud süsteemne mastotsütoos või nuumrakuline leukeemia.

Et nende haigustega patsientide arv on väike ja seda haigust esineb harva, nimetati Rydapt erinevatel kuupäevadel (vt allpool) harvikravimiks (harvaesinevate haiguste raviks kasutatavaks ravimiks).

Rydapt sisaldab toimeainena midostauriini.

Kuidas Rydapti kasutatakse?

Rydapt on retseptiravim. Ravi tohib alustada ainult vähiravimite kasutamises kogenud arst. Rydapti turustatakse kapslitena, mis sisaldavad 25 mg midostauriini. Ägeda müeloidleukeemia korral on tavaline algannus 50 mg (kaks kapslit) kaks korda ööpäevas 28-päevase ravikuuri 8. kuni 21. päeval;

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



juhul kui haigus on ravile reageerinud, kasutatakse seda hiljem iga päev. Sõltuvalt patsiendi reageerimisest ravile jätkatakse ravi kuni 12 ravikuuri. Nuumraku häirete korral on algannus 100 mg (neli kapslit) kaks korda ööpäevas ning ravi jätkatakse seni, kuni patsient saab sellest kasu. Kui patsiendil tekivad teatud rasked kõrvalnähud, võib arst otsustada annust vähendada või ravi edasi lükata või lõpetada.

Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

Kuidas Rydapt toimib?

Rydapti toimeaine midostauriin on türosiinkinaasi inhibiitor, mis blokeerib retseptori türosiinkinaasideks nimetatavate teatud ensüümide toime. FLT3-mutatsiooniga patsientidel stimuleerib ebanormaalne FLT3-türosiinkinaasi vorm AML-i rakkude ellujäämist ja kasvu. Ebanormaalse FLT3-ensüümi blokeerimise kaudu aitab Rydapt esile kutsuda ebanormaalsete rakkude surma ja hoida vähi levikut kontrolli all. Rydapt blokeerib ka ühe teise ensüümi, KIT-kinaasi, muteerunud vormi, millel on tähtis roll nuumrakkude ebanormaalse kasvu stimuleerimisel nuumraku häiretega patsientidel.

Milles seisneb uuringute põhjal Rydapti kasulikkus?

Rydapti kasutamisel on tõendatud FLT3-mutatsiooniga AML-iga patsientide elumuse parandamine. Ühes põhiuuringus, milles osales 717 sellist patsienti, võrreldi Rydapti platseeboga (näiv ravim) – esialgu kasutati seda lisaks muudele vähiravimitele ja seejärel kasutati neil patsientidel, kellel haigus ravile reageeris, kas ainult Rydapti või ainult platseebot. 5 aasta pärast oli elus ligikaudu 51% Rydapti kasutanud patsientidest ja 43% platseebot kasutanud patsientidest.

Ravimi kasulikkust tõendati ka teises põhiuuringus, milles osales 116 nuumraku häirega patsienti. Uuringus vaadeldi, kuidas reageerisid Rydapt-ravile agressiivse süsteemse mastotsütoosi, verevähiga seotud süsteemse mastotsütoosi või nuumrakulise leukeemiaga patsiendid. Kõige rangemate kaasaegsete kriteeriumide järgi reageeris ravile kokkuvõttes ligikaudu 28% patsientidest (32 patsienti 113st). Eraldi vaadeldes oli ravile reageerimise määr suurim (60%) agressiivse süsteemse mastotsütoosiga patsientide hulgas.

Mis riskid Rydaptiga kaasnevad?

AML-i raviks kasutamisel olid Rydapti kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) febrilne neutropeenia (palavik ja vere valgeliblede väike arv; esines praktiliselt kõigil patsientidel), eksfoliatiivne dermatiit (põletikuline ketendav nahk), oksendamine, peavalu, petehhiad (väikesed nahaalused täppverevalumid) ja palavik. Kõige sagedamad rasked kõrvalnähud olid febrilne neutropeenia, lümfopenia (teatud tüüpi vere valgeliblede, lümfotsüütide, väike arv), kateetri (veeni sisestatud vooliku) sisestuskoha infektsioonid, eksfoliatiivne dermatiit, kõrge veresuhkur ja iiveldus.

Nuumraku häirete raviks kasutamisel olid kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda ühel kolmandikul või enamal osal patsientidest) iiveldus, oksendamine, kõhulahtisus, perifeerne ödeem (pahklude ja labajalgade paistetus) ja väsimus. Kõige sagedamad rasked kõrvalnähud olid väsimus, sepsis (veremürgitus), kopsupõletik, febrilne neutropeenia ja kõhulahtisus.

Rydapti kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Rydapti ei tohi kasutada patsiendid, kes võtavad teatud muid ravimeid, mis mõjutavad Rydapti töötlemist organismis. Piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Rydapt heaks kiideti?

Rydapti kasutamisel on tõendatud kasulikkus FTL3-mutatsiooniga AML-iga patsientidel. Ravimi ohutus oli selle raske seisundi puhul vastuvõetav ja kõrvalnähte peeti käsitletavateks.

Ka nuumraku häirete korral oli olulist tõendusmaterjali ravimi efektiivsuse kohta. Kuigi Rydapti ei võrreldud muude ravimeetoditega, siis arvestades seisundite väikest esinemissagedust ja patsientidel esinevat täitmata ravivajadust, oli kliiniline kasu selge ja kõrvaltoimed vastuvõetavad.

Inimravimite komitee otsustas, et Rydapti kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Rydapti ohutu ja efektiivne kasutamine?

Rydapti turustav ettevõtte viib lõpule kolm täiendavat uuringut, et esitada ametile tõendusmaterjal, mis toetaks ravimi efektiivsust eakatel AML-iga patsientidel.

Rydapti ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Muu teave Rydapti kohta

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Rydapti kohta on ameti veebilehel. [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate Rydaptiga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Rydapti kohta on ameti veebilehel:

[äge müeloidleukeemia](#)

[mastotsütoos](#).