



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Rydapt

midostauriini

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Rydapt-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Rydaptin käytöstä.

Potilas saa Rydaptin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Rydapt on ja mihin sitä käytetään?

Rydapt on syöpälääke. Se on tarkoitettu sellaisten aikuispotilaiden hoitoon, joilla on hiljattain diagnosoitu akuutti myeloinen leukemia (AML), eräs veren valkosolujen syöpä. Sitä käytetään ensin muiden syöpälääkkeiden (solunsalpaajahoidon) kanssa ja sen jälkeen yksinään, kun solunsalpaajahoito on päättynyt, jos sairaus on reagoinut hoitoon. Rydaptia annetaan vain silloin, kun AML:ssä esiintyy erityinen geneettinen muutos, ns. FLT3-mutaatio.

Rydaptia annetaan myös yksinään aikuispotilaille syöttösoluiksi kutsuttujen veren valkosolujen seuraavien sairauksien hoitoon: aggressiivinen systeeminen mastosytoosi, systeeminen mastosytoosi, johon liittyy hematologinen neoplasmi (verisyöpä) ja syöttösoluleukemia.

Koska näitä sairauksia sairastavia potilaita on vähän, ne katsotaan harvinaisiksi; Rydapt nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) eri ajankohtina (ks. alempana).

Rydaptin vaikuttava aine on midostauriini.

Miten Rydaptia käytetään?

Rydaptia saa vain lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa syöpälääkkeiden käyttöön perehtynyt lääkäri. Rydaptia on saatavana kapseleina, jotka sisältävät 25 mg midostauriinia. AML:n hoidossa

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



tavanomainen aloitusannos on 50 mg (kaksi kapselia) kahdesti vuorokaudessa 28 päivän hoitajakson päivinä 8–21 ja tämän jälkeen joka päivä, kun sairaus on reagoinut hoitoon. Hoitoa jatketaan enintään 12 hoitajakson ajan sen mukaan, miten potilas reagoi hoitoon. Syöttösolusairauksissa aloitusannos on 100 mg (neljä kapselia) kahdesti vuorokaudessa; hoitoa jatketaan niin pitkään kuin potilas hyötyy siitä. Jos potilaalla esiintyy tiettyjä vaikeita sivuvaikutuksia, lääkäri voi päättää pienentää seuraavia annoksia tai viivästyttää hoitoa tai lopettaa sen.

Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Rydapt vaikuttaa?

Rydaptin vaikuttava aine midostauriini on tyrosiinikinaasin estäjä. Tämä tarkoittaa, että se estää reseptorityrosiinikinaaseiksi kutsuttujen tiettyjen entsyymien toimintaa. Potilailla, joilla esiintyy FLT3-mutaatio, FLT3-tyrosiinikinaasin epänormaali muoto stimuloi AML-solujen eloonjäämistä ja kasvua. Salpaamalla epänormaalien FLT3-entsyymien Rydapt auttaa saamaan aikaan epänormaalien solujen kuoleman ja hillitsemään syövän kasvua. Rydapt estää myös toisen entsyymien eli KIT-kinaasin mutatoitunutta muotoa. Tällä on tärkeä rooli syöttösolujen epänormaalien kasvun stimuloimisessa syöttösolusairauksissa sairastavilla potilailla.

Mitä hyötyä Rydaptista on havaittu tutkimuksissa?

Rydaptin on osoitettu pidentävän FLT3-mutatoitunutta AML:ää sairastavien potilaiden elossaoloaika. Yhdessä päätutkimuksessa, jossa oli mukana 717 tällaista potilasta, Rydaptia verrattiin lumelääkkeeseen ensin lisähoitona muiden syöpälääkkeiden kanssa, minkä jälkeen Rydaptia tai lumelääkettä annettiin yksinään sellaisille potilaille, joiden sairaus oli reagoinut hoitoon. Noin 51 prosenttia Rydaptia saaneista ja 43 prosenttia lumelääkettä saaneista oli edelleen elossa 5 vuoden kuluttua.

Myös toisessa päätutkimuksessa, jossa oli mukana 116 syöttösolusairauksia sairastavaa potilasta, havaittiin hyötyjä. Tässä tutkimuksessa tarkasteltiin sellaisten potilaiden vastetta Rydapt-hoitoon, joilla oli aggressiivinen systeeminen mastosytoosi, systeeminen mastosytoosi, johon liittyy verisyöpä, tai syöttösoluleukemia. Kaiken kaikkiaan tiukimpien ajanmukaisten kriteerien mukaan sairaus reagoi hoitoon noin 28 prosentilla potilaista (32 potilaalla 113:sta). Kun sairauksia tarkastellaan erikseen vaste on suurin (60 prosenttia) aggressiivista systeemistä mastosytoosia sairastavilla potilailla.

Mitä riskejä Rydaptiin liittyy?

AML:n hoidossa Rydaptin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat kuumeinen neutropenia (kuumetta ja alhaista valkosolujen määrää, jota on havaittu melkein kaikilla potilailla), eksfoliatiivinen dermatiitti (tulehtunut, kesivä iho), oksentelu, päänsärky, petekiat (pienet veripisteet ihon alla) ja kuume. Yleisimmät vaikeat sivuvaikutukset olivat kuumeinen neutropenia, lymfopenia (tiettyjen veren valkosolujen eli lymfosyyttien alhainen määrä), katetrikohdan (laskimoon asennetun putken asennuskohdan) infektiot, eksfoliatiivinen dermatiitti, korkea verensokeri ja pahoinvointi.

Syöttösolusairauksien hoidossa yleisimmät sivuvaikutukset (joita aiheutuu vähintään kolmannekselle kaikista potilaista) olivat pahoinvointi, oksentelu, ripuli, perifeerinen turvotus (nilkkojen ja jalkojen turvotus) ja väsymys. Yleisimmät vaikeat sivuvaikutukset olivat väsymys, sepsis (verenmyrkytys), keuhkokuume (keuhkoinfektio), kuumeinen neutropenia ja ripuli.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Rydaptin ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Rydaptia ei saa antaa potilaille, jotka käyttävät tiettyjä muita lääkkeitä, jotka vaikuttavat siihen, miten lääke toimii elimistössä. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

Miksi Rydapt on hyväksytty?

Rydaptin on osoitettu olevan hyödyllinen potilaille, joilla on FLT3-mutatoitunut AML. Lääkkeen turvallisuus oli hyväksyttävä näin vaikeassa sairaudessa, ja sitä pidettiin hallittavana.

Tehokkuudesta oli tärkeää näyttöä myös syöttösolusairauksien hoidossa. Vaikka Rydaptia ei ole verrattu muihin hoitoihin, sen kliiniset hyödyt olivat selviä ja haittavaikutukset hyväksyttäviä, kun otetaan huomioon sairauksien harvinaisuus ja potilaiden hoitovaihtoehtojen puutteet.

Tämän johdosta Euroopan lääkevirasto katsoi, että Rydaptin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Rydaptin turvallinen ja tehokas käyttö?

Lääkevalmistetta Rydapt markkinoiva yhtiö tekee kolme lisätutkimusta, joiden tarkoituksena on antaa virastolle näyttöä lääkkeen tehosta AML:ää sairastavien iäkkäiden potilaiden hoidossa.

Suosituksset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Rydaptin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Muita tietoja Rydaptista

Rydaptia koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisää tietoa Rydaptilla annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmät harvinaislääkekomitean Rydaptia koskevasta lausunnosta ovat viraston verkkosivustolla osoitteessa:

[akuutti myeloinen leukemia](#)

[mastosytoosi](#).