



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Rydapt

midostaurin

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) lijeka Rydapt. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek kako bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Rydapt.

Praktične informacije o primjeni lijeka Rydapt bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno obratiti se svom liječniku ili ljekarniku.

Što je Rydapt i za što se koristi?

Rydapt je lijek za liječenje raka koji koristi za liječenje odraslih osoba s novodijagnosticiranom akutnom mijeloidnom leukemijom (ALM), vrstom raka bijelih krvnih stanica. U početku se primjenjuje u kombinaciji s ostalim lijekovima za liječenje raka (kemoterapija) te kao monoterapija nakon dovršetka kemoterapije ako je bolest reagirala na liječenje. Lijek Rydapt primjenjuje se samo ako AML ima posebnu genetsku promjenu koja se naziva FLT3 mutacija.

Lijek Rydapt također se primjenjuje kao monoterapija u odraslih bolesnika sa sljedećim poremećajima povezanim s mastocitima, vrstom bijelih krvnih stanica: agresivnom sistemskom mastocitozom, sistemskom mastocitozom s povezanom hematološkom neoplazmom (rak krvi) i mastocitnom leukemijom.

Budući da je broj bolesnika s tim bolestima nizak, one se smatraju „rijetkima“, a lijek Rydapt dobio je status „lijeka za liječenje rijetkih bolesti“ na različite datume (vidjeti u nastavku).

Lijek Rydapt sadržava djelatnu tvar midostaurin.

Kako se Rydapt koristi?

Lijek Rydapt se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje bi trebao započeti liječnik s iskustvom primjene lijekova za liječenje raka. Lijek Rydapt je dostupan u obliku kapsula koje sadržavaju 25 mg



midostaurina. Uobičajena početna doza iznosi 50 mg (dvije kapsule) dva puta dnevno za AML od 8. do 21. dana ciklusa liječenja od 28 dana, a nakon toga svakog dana nakon što bolest reagira na liječenje. Liječenje se nastavlja tijekom razdoblja od najviše 12 ciklusa, ovisno o reakciji bolesnika. Početna doza za poremećaje mastocita iznosi 100 mg (četiri kapsule) dva puta dnevno, a liječenje se nastavlja sve dok bolesnik ima koristi od liječenja. Ako bolesnik razvije određene ozbiljne nuspojave, liječnik može odlučiti smanjiti sljedeće doze, odnosno odgoditi ili prekinuti liječenje.

Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

Kako djeluje Rydapt?

Djelatna tvar lijeka Rydapt, midostaurin, inhibitor je tirozin-kinaze. To znači da blokira djelovanje određenih enzima poznatih pod nazivom tirozin-kinaze. U bolesnika s FLT3 mutacijom abnormalni oblik FLT3 tirozin-kinaze stimulira preživljavanje i rast stanica AML-a. Blokiranjem abnormalnog FLT3 enzima, Rydapt pridonosi odumiranju abnormalnih stanica i kontroli širenja raka. Lijek Rydapt također inhibira mutirani oblik jednog drugog enzima, KIT kinaze, koji ima važnu ulogu u stimuliranju abnormalnog rasta mastocita u bolesnika s poremećajima mastocita.

Koje su koristi lijeka Rydapt utvrđene u ispitivanjima?

Utvrđeno je da lijek Rydapt poboljšava preživljavanje bolesnika oboljelih od AML-a s FLT3 mutacijom. Lijek Rydapt je u okviru jednog glavnog ispitivanja, u kojem je sudjelovalo 717 takvih bolesnika, uspoređen s placebom (prividno liječenje) prvo u kombinaciji s ostalim lijekovima za liječenje raka, a zatim kao monoterapija lijekom Rydapt ili placebom u bolesnika čija je bolest reagirala na liječenje. Otprilike 51 % bolesnika koji su primili Rydapt i 43 % onih koji su primili placebo bili su i dalje živi nakon pet godina.

U drugom glavnom ispitivanju u kojem je sudjelovalo 116 bolesnika s poremećajima mastocita također je utvrđena korist. Ispitivanje se bavilo reakcijom na terapiju lijekom Rydapt u bolesnika s agresivnom sistemskom mastocitozom, sistemskom mastocitozom povezanom s rakom krvi ili mastocitnom leukemijom. Ukupno gledano, koristeći se s najstrožim ažuriranim kriterijima, bolest je reagirala na liječenje u otprilike 28 % bolesnika (32 od 113). Zasebno gledano, stopa reakcije bila je najviša (60 %) u bolesnika s agresivnom sistemskom mastocitozom.

Koji su rizici povezani s lijekom Rydapt?

Kada se primjenjuje za liječenje AML-a, najčešće nuspojave lijeka Rydapt (koje se mogu javiti u više od 1 od 10 osoba) jesu neutropenija praćena vrućicom (vrućica i nizak broj bijelih krvnih stanica, zabilježeni kod gotovo svih bolesnika), ekfolijativni dermatitis (upaljena koža koja se ljušti), povraćanje, glavobolja, petehije (mala točkasta potkožna krvarenja) i vrućica. Najčešće ozbiljne nuspojave bile su neutropenija praćena vrućicom, limfopenija (nizak broj limfocita, posebne vrste bijelih krvnih stanica), infekcije na mjestu uvođenja katetera (cjevčice umetnute u venu) ekfolijativni dermatitis, visoke razine šećera u krvi i mučnina (slabost).

Kada se primjenjuje za poremećaje mastocita, najčešće nuspojave (javljaju se kod jedne trećine ili više svih bolesnika) bile su mučnina, povraćanje, proljev, periferni edem (oticanje zglobova i stopala) i umor. Najčešće nuspojave bile su umor, sepsa (trovanje krvi), pneumonija (upala pluća), neutropenija s vrućicom i proljev.

Potpuni popis svih nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Rydapt potražite u uputi o lijeku.

Rydapt ne smije se primjenjivati u bolesnika koji uzimaju određene druge lijekove koji utječu na način njegove probave u organizmu. Potpuni popis ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Rydapt odobren?

Utvrđeno je bolesnici oboljelih od AML-a s FLT3 mutacijom imaju koristi od lijeka Rydapt. Sigurnost lijeka bila je prihvatljiva za takvu ozbiljnu bolest te se smatralo da se njome može upravljati.

Također su pruženi važni dokazi o učinkovitosti u pogledu poremećaja mastocita. Iako Rydapt još nije uspoređen s ostalim vrstama liječenja, s obzirom na rijetkost tih bolesti i nezadovoljene medicinske potrebe bolesnika koji ih imaju, kliničke koristi bile su jasne, a nuspojave prihvatljive.

Stoga je Europska agencija za lijekove zaključila da koristi lijeka Rydapt nadmašuju s njim povezane rizike i preporučila izdavanje odobrenja za njegovu primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Rydapt?

Tvrtka koja stavlja na tržište lijek Rydapt dovršit će tri dodatna ispitivanja kako bi Agenciji pružila dokaze koji podupiru djelotvornost lijeka u starijih bolesnika s AML-om.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Rydapt nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Ostale informacije o lijeku Rydapt

Cjeloviti EPAR za lijek Rydapt nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o liječenju lijekom Rydapt pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti o lijeku Rydapt nalazi se na internetskim stranicama Agencije:

[akutna mijeloična leukemija](#),

[mastocitoza](#).