



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Rydapt

midosztaurin

Ez a dokumentum a Rydaptra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalombahozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Rydapt alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Rydapt alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú készítmény a Rydapt és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Rydapt egy daganatellenes gyógyszer, amelyet akut mieloid leukémiával (AML), a fehérvérsejteket érintő rákos betegségek egyik fajtájával újonnan diagnosztizált felnőttek kezelésére alkalmaznak. Kezdetben más daganatellenes gyógyszerekkel (kemoterápia) együtt alkalmazzák, majd a kemoterápia befejezését követően önmagában, amennyiben a betegség reagált a kezelésre. A Rydaptot csak akkor adják, amikor az AML egy bizonyos genetikai változást, úgynevezett FLT3 mutációt mutat.

A Rydaptot továbbá alkalmazzák önmagában a hízósejtnek nevezett fehérvérsejt-típus következő rendellenességeiben szenvedő felnőtteknél: agresszív szisztémás masztocitózis, hematológiai daganatokhoz (vérképzőszervi daganatokhoz) társuló szisztémás masztocitózis és hízósejtes leukémia.

Mivel az említett betegségekben szenvedő betegek száma alacsony, a betegségek „ritkának” minősülnek, ezért a Rydaptot különféle időpontokban (lásd lentebb) „ritka betegségek elleni gyógyszerként” (orphan drug) minősítették.

A Rydapt hatóanyaga az midosztaurin.

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



Hogyan kell alkalmazni a Rydaptot?

A Rydapt csak receptre kapható, és a kezelést a daganatellenes gyógyszerek alkalmazásában tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie. A Rydapt 25 mg midosztaurint tartalmazó kapszulák formájában kapható. AML esetében a szokásos kezdőadag 50 mg (két kapszula) naponta kétszer a 28 napos kezelési ciklus 8. és 21. napján, majd minden nap, amennyiben a betegség reagált. A kezelést legfeljebb 12 cikluson keresztül folytatják a beteg reakciójának függvényében. Hízósejt-betegségek esetében a kezdőadag 100 mg (négy kapszula) naponta kétszer; a kezelést addig kell folytatni, amíg az a beteg számára előnyös. Amennyiben a betegnél bizonyos súlyos mellékhatások alakulnak ki, az orvos dönthet a következő adagok csökkentése, illetve a kezelés elhalasztása vagy leállítása mellett.

További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejt ki hatását a Rydapt?

A Rydapt hatóanyaga, a midosztaurin egy „tirozin-kináz inhibitor”. Ez azt jelenti, hogy gátolja bizonyos enzimek, az úgynevezett tirozin-kinázok aktivitását. Az FLT3 mutációt mutató betegek esetében az FLT3 tirozin-kináz kóros formája serkenti az AML sejtek túlélését és növekedését. A kóros FLT3 enzim gátlása révén a Rydapt hozzájárul a kóros sejtek elpusztításához és a daganat terjedésének kontrolljához. A Rydapt gátolja egy másik enzim, a KIT kináz mutálódott formáját is, amely fontos szerepet játszik a hízósejtek kóros növekedésének serkentésében a hízósejt-betegségekben szenvedő betegeknél.

Milyen előnyei voltak a Rydapt alkalmazásának a vizsgálatok során?

Igazolták, hogy a Rydapt javítja az FLT3 mutációval társuló AML-ben szenvedő betegek túlélését. Egy fő vizsgálatban 717 ilyen beteg részvételével a Rydaptot placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze kezdetben egyéb daganatellenes gyógyszerek kiegészítéseként, amelyet önmagában adott Rydapt- vagy placebo-kezelés követett azoknál a betegeknél, akiknek a betegsége reagált. A Rydapttal kezelt betegek körülbelül 51%-a és a placebóval kezelték 43% még életben volt 5 év elteltével.

Egy másik fő vizsgálatban 116, hízósejt-betegségben szenvedő beteg részvételével szintén igazolták az előnyös hatást. A vizsgálatban a Rydapt-kezelésre adott választ tanulmányozták agresszív szisztémás masztocitózisban, vérképzőszervi daganathoz társuló szisztémás masztocitózisban vagy hízósejtes leukémiában szenvedő betegeknél. Összességében a legszigorúbb, korszerű kritériumok alapján a betegség a betegek körülbelül 28%-ánál (113-ból 32) reagált a kezelésre. Külön-külön értékelve, az agresszív szisztémás masztocitózisban szenvedő betegeknél volt a legmagasabb a válaszarány (60%).

Milyen kockázatokkal jár a Rydapt alkalmazása?

AML kezelésére alkalmazva a Rydapt leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint egynél jelentkezhethet) a lázas neutropénia (láz és alacsony fehérvérsejtszám, amely majdnem minden betegnél megfigyelhető), exfoliatív dermatitisz (gyulladt, hámló bőr), hányás, fejfájás, petechiák (apró vérfoltok a bőr alatt) és láz. A leggyakoribb súlyos mellékhatások a lázas neutropénia, limfopénia (a fehérvérsejtek egyik fajtája, a limfociták alacsony száma), fertőzések a katéter (a vénába bevezetett cső) helyénél, exfoliatív dermatitisz, magas vércukorszint és hányinger.

Hízósejt-betegségek esetén alkalmazva a leggyakoribb mellékhatások (az összes beteg harmadát vagy nagyobb részét érinti) a hányinger, hányás, hasmenés, perifériás ödéma (a bokák és a lábak

duzzanata) és fáradtság. A leggyakoribb súlyos mellékhatások a fáradtság, szepszis (vérmérgezés), pneumónia (tüdőfertőzés), lázas neutropénia és hasmenés.

A Rydapt alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Rydapt nem alkalmazható olyan bizonyos gyógyszereket szedő betegek esetében, amelyek befolyásolják a gyógyszer sorsát a szervezetben. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Rydapt forgalomba hozatalát?

A Rydapt bizonyítottan előnyös hatású az FLT3 mutációval társuló AML-ben szenvedő betegek számára. A gyógyszer biztonságossága elfogadható volt egy ilyen súlyos betegség esetén, és kezelhetőnek tartották.

Hízósejt-betegségek esetén szintén fontos bizonyítékok utaltak a hatékonyságra. Bár a Rydaptot nem hasonlították össze más kezelésekkel, a betegségek ritkasága és az azokban szenvedő betegek kielégítetlen orvosi igénye alapján a klinikai előnyök világosak és a mellékhatások elfogadhatók.

Az Európai Gyógyszerügynökség ezért megállapította, hogy a Rydapt alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, és javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Rydapt biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Rydaptot forgalmazó vállalat három további vizsgálatot fog elvégezni, hogy olyan bizonyítékokkal lássa el az Ügynökséget, amelyek alátámasztják a gyógyszer hatékonyságát AML-ben szenvedő, idősebb betegek esetében.

A Rydapt biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Rydapttal kapcsolatos egyéb információ

A Rydaptra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Rydapttal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Rydaptra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található:

[akut mieloid leukémia](#)

[masztocitózis](#)