



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiamaj visuomenei

Rydapt

midostaurinas

Šis dokumentas yra Rydapt Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Rydapt.

Praktinės informacijos apie Rydapt vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Rydapt ir kam jis vartojamas?

Rydapt – tai vaistas nuo vėžio, kuriuo gydomi suaugusieji, kuriems pirmą kartą diagnozuota ūminė mieloidinė leukemija (ŪML) – baltuosius kraujo kūnelius pažeidžiantis vėžinis susirgimas. Iš pradžių šis vaistas vartojamas kartu su kitais vaistais nuo vėžio (chemoterapiniais vaistais), o užbaigus chemoterapiją – jeigu ligos gydymas buvo veiksmingas – jis vartojamas vienas. Rydapt skiriamas tik kai ŪML sergančiam pacientui nustatomas tam tikras genetinis pokytis, vadinamas FLT3 mutacija.

Rydapt taip pat skiriamas vienas suaugusiesiems, kuriems nustatyti šie baltųjų kraujo kūnelių, vadinamų putliosiomis ląstelėmis, sutrikimai: agresyvi sisteminė mastocitozė, su kraujodaros audinių naviku (kraujo vėžiu) susijusi sisteminė mastocitozė ir putliųjų ląstelių leukemija.

Kadangi šiomis ligomis sergančių pacientų nėra daug, šios ligos laikomos retomis, Rydapt buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai skirtingu metu (žr. toliau nurodytas datas).

Rydapt sudėtyje yra veikliosios medžiagos midostaurino.

Kaip vartoti Rydapt?

Rydapt galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turėtų pradėti gydytojas, turintis gydymo vaistais nuo vėžio patirties. Rydapt tiekiamas kapsulių, kuriose yra 25 mg midostaurino,

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



forma. Gydant ŪML, įprastinė pradinė dozė yra 50 mg (dvi kapsulės) du kartus per parą, vaistą vartojant 8–21-ą 28 dienų gydymo ciklo dieną, o vėliau, pasireiškus atsakai į gydymą, – kiekvieną dieną. Gydymas tęsiamas iki 12 ciklų, atsižvelgiant į paciento atsaką į gydymą. Gydant putliųjų ląstelių sutrikimus, pradinė dozė yra 100 mg (keturios kapsulės) du kartus per parą; gydymas tęsiamas tol, kol yra naudingas pacientui. Pasireiškus tam tikriems sunkiems šalutiniams reiškiniams, gydytojas gali nuspręsti sumažinti paskesnes vaisto dozes, atidėti gydymą vėlesniam laikui arba jį nutraukti.

Daugiau informacijos pateikta pakuotės lapelyje.

Kaip veikia Rydapt?

Rydapt veikioji medžiaga midostaurinas yra tirozino kinazės inhibitorius. Tai reiškia, kad jis slopina tam tikrus fermentus, vadinamus tirozino kinazėmis. Pacientų, kuriems nustatyta FLT3 mutacija, organizme pakitusios formos FLT3 tirozino kinazė skatina ŪML pažeistų ląstelių išgyvenimą ir augimą. Slopindamas pakitusį FLT3 fermentą, Rydapt padeda sukelti pakitusių ląstelių žūtį ir kontroliuoti vėžio plitimą. Rydapt taip pat slopina kitą mutavusį fermentą, receptorinę tirozino kinazę KIT, kuri atlieka svarbų vaidmenį skatinant anomalų putliųjų ląstelių augimą putliųjų ląstelių sutrikimų turinčių pacientų organizme.

Kokia Rydapt nauda nustatyta tyrimuose?

Nustatyta, kad, vartojant Rydapt, gerėja su FLT3 mutacija susijusia ŪML sergančių pacientų išgyvenamumas. Atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 717 tokių pacientų, Rydapt buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos), iš pradžių juos skiriant papildomai kartu su kitais vaistais nuo vėžio, vėliau tęsiant pacientų, kurių gydymas buvo veiksmingas, gydymą vienu Rydapt arba placebo. Praėjus 5 metams, vis dar gyvi buvo maždaug 51 proc. Rydapt vartojusių pacientų ir 43 proc. pacientų, kurie vartojo placebo.

Kitas pagrindinis tyrimas, kuriame dalyvavo 116 putliųjų ląstelių sutrikimų turinčių pacientų, taip pat patvirtino šio vaisto naudą. Atliekant šį tyrimą, buvo vertinamas atsakas į gydymą Rydapt gydant pacientus, sergančius agresyvia sistemine mastocitoze, su kraujo vėžiu susijusia sistemine mastocitoze arba putliųjų ląstelių anemija. Apskritai, pagal griežčiausius naujausius kriterijus, atsakas į gydymą pasireiškė maždaug 28 proc. (32 iš 113) pacientų. Vertinant atsaką į kiekvienos ligos gydymą atskirai, didžiausias atsako į gydymą rodiklis (60 proc.) nustatytas agresyvia sistemine mastocitoze sergančiųjų grupėje.

Kokia rizika siejama su Rydapt vartojimu?

Gydant ŪML, dažniausi Rydapt sukeliama šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra febrilinė neutropenija (karščiavimas ir sumažėjęs baltųjų kraujo kūnelių skaičius, pasireiškęs beveik visiems pacientams), eksfoliacinis dermatitas (odos uždegimas ir lupimasis), vėmimas, galvos skausmas, petechijos (mikroskopinės poodinės kraujo dėmelės) ir karščiavimas. Dažniausi sunkūs šalutiniai reiškiniai buvo febrilinė neutropenija, limfopenija (sumažėjęs baltųjų kraujo kūnelių limfocitų skaičius), infekcijos kateterio (į veną įstatyto vamzdelio) įvedimo vietoje, eksfoliacinis dermatitas, padidėjęs cukraus kiekis kraujyje ir pykinimas (šleikštulys).

Gydant putliųjų ląstelių sutrikimus, dažniausiai pasireiškę šalutiniai reiškiniai (nustatyti trečdaliui ar daugiau visų pacientų) buvo pykinimas, vėmimas, viduriavimas, periferinė edema (kulkšnių ir pėdų patinimas) ir nuovargis. Dažniausiai pasireiškę sunkūs šalutiniai reiškiniai buvo nuovargis, sepsis (kraujo užkrėtimas), pneumonija (plaučių infekcija), febrilinė neutropenija ir viduriavimas.

Išsamų visų šalutinių reiškinių, apie kuriuos pranešta gydant Rydapt, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Rydapt negalima vartoti pacientams, vartojantiems tam tikrus kitus vaistus, kurie turi įtakos tam, kaip vaistas skaidomas žmogaus organizme. Išsamų visų apribojimų sąrašą rasite pakuotės lapelyje.

Kodėl Rydapt buvo patvirtintas?

Nustatyta, kad Rydapt yra naudingas su FTL3 mutacija susijusia ŪML sergantiems pacientams. Šio vaisto saugumas gydant tokią sunkią ligą buvo priimtinas ir nuspręsta, kad jo sukliamą šalutinį poveikį galima kontroliuoti.

Gydant putliųjų ląstelių sutrikimus, taip pat buvo surinkta svarbių vaisto veiksmingumą patvirtinančių duomenų. Nors Rydapt nebuvo lyginamas su kitais vaistais, atsižvelgiant į šių ligų retumą ir nepatenkintą jomis sergančių pacientų medicininį poreikį, nuspręsta, kad šio vaisto klinikinė nauda yra aiški, o jo sukliamas nepageidaujamas poveikis – priimtinas.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Rydapt nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Rydapt vartojimą?

Rydapt prekiaujanti bendrovė atliks dar tris tyrimus, kad galėtų agentūrai pateikti duomenis, kurie patvirtintų vaisto veiksmingumą gydant ŪML sergančius senyvus pacientus.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Rydapt vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Rydapt

Išsamų Rydapt EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Daugiau informacijos apie gydymą Rydapt rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Rydapt santrauką rasite agentūros interneto svetainėje

[ūminė mieloidinė leukemija](#);

[mastocitozė](#).