



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Rydapt

midostaurin

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Rydapt. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tagħha fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tagħha. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni prattika dwar l-użu ta' Rydapt.

Għal informazzjoni prattika dwar l-użu ta' Rydapt, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew lill-ispizjar tagħhom.

X' inhu Rydapt u għal xiex jintuża?

Rydapt huwa medicina kontra l-kanċer li tintuża biex tikkura adulti li tkun għadha kif saritilhom id-dijanjozi tal-lewkimja tal-majelojde akuta (AML, acute myeloid leukaemia), kanċer taċ-ċelloli bojod tad-demem. Dan jintuża flimkien ma' medicini oħra kontra l-kanċer għall-bidu (kimoterapija) u mbagħad waħdu ladarba l-kimoterapija titlesta jekk il-marda tkun irrispondiet għall-kura. Rydapt jingħata biss meta AML ikollha bidla ġenetika partikolari li tissejjaħ mutazzjoni tal-FLT3.

Rydapt jintuża wkoll waħdu f' adulti li għandhom id-disturbi li ġejjin ta' tip ta' ċellola bajda tad-demem magħrufa bħala ċellola mast (mast cell): mastocitozi sistemika aggressiva, mastocitozi sistemika assoċjata ma' neoplażma ematoloġika (kanċer tad-demem), u lewkimja taċ-ċellola mast.

Peress li n-numru ta' pazjenti li jbatu minn dan il-mard huwa baxx, huma kkunsidrati 'rari', u Rydapt ġie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina li tintuża f' mard rari) f' diversi dati (ara hawn taħt).

Rydapt fih is-sustanza attiva midostaurin.

Kif jintuża Rydapt?

Rydapt jista' jinkiseb biss b' ricetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda minn tabib b' esperjenza fl-użu ta' medicini kontra l-kanċer. Rydapt jiġi bħala kapsuli li fihom 25 mg ta' midostaurin. Id-doża tal-bidu tas-soltu hija 50 mg (żewġ kapsuli) darbtejn kuljum għal AML, fil-jum 8 sal-21 ta' ciklu ta'

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



kura ta' 28 jum, u mbagħad kuljum ladarba l-marda tkun irrispondiet. Il-kura titkompla sa 12-il ciklu skont kif jirrispondu l-pazjenti. Għal disturbi taċ-ċellola mast, id-doża tal-bidu hija 100 mg (erba' kapsuli) darbtejn kuljum; il-kura titkompla sakemm il-pazjent ikun qed jibbenefika. Jekk pazjent jiżviluppa ċerti effetti sekondarji severi, it-tabib jista' jiddeċiedi li jnaqqas id-doži sussegwenti jew jittardja jew iwaqqaf il-kura.

Għal iktar informazzjoni, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Kif jaħdem Rydapt?

Is-sustanza attiva f' Rydapt, il-midostaurin, hija 'inibitur tat-tirożina kinażi'. Dan ifisser li din timblokka l-azzjoni ta' ċerti enzimi magħrufin bħala riċettur tat-tirożina kinażi. F' pazjenti b' mutazzjoni tal-FLT3, forma anormali tat-tirożina kinażi FLT3 tistimula s-sopravivenza u t-ktabbir taċ-ċelloli AML. Permezz tal-imblukkar tal-enzima anormali FLT3, Rydapt jgħin biex jinqatlu ċ-ċelloli anormali u tiġi kkontrollata l-firxa tal-kanċer. Rydapt jimblokka wkoll forma mutata ta' enzima oħra, KIT kinażi, li għandha rwol importanti fl-istimolu tat-ktabbir anormali taċ-ċelloli mast f' pazjenti b' disturbi taċ-ċellola mast.

X' inhumta l-benefiċċji ta' Rydapt li ħarġu mill-istudji?

Rydapt intwera li jtejjeb is-sopravivenza f' pazjenti b' AML assoċjata ma' mutazzjoni ta' FLT3. Studju ewlieni wieħed, li kien jinvolvi 717-il pazjent bħal dawn, qabbel Rydapt ma' placebo (kura finta) inizjalment bħala zieda ma' mediċini oħra kontra l-kanċer, segwit minn kura b' Rydapt jew placebo waħedhom f' dawk li l-marda tagħhom irrispondiet. Madwar 51% ta' dawk li ngħataw Rydapt u 43% ta' dawk li ngħataw placebo kienu għadhom ħajjin wara 5 snin.

Studju ewlieni ieħor li kien jinvolvi 116-il pazjent b' disturbi taċ-ċellola mast ukoll wera benefiċċju. L-istudju ta' ħarsa lejn ir-rispons għall-kura b' Rydapt f' pazjenti b' mastoċitozi sistemika aggressiva, mastoċitozi sistemika assoċjata ma' kanċer tad-demem, jew lewkimja taċ-ċellola mast. B' mod ġenerali, bl-użu tal-kriterji l-aktar stretti u aġġornati, il-marda rrispondiet għall-kura f' madwar 28% tal-pazjenti (32 minn 113). Meta jitqiesu b' mod separat, ir-rata ta' rispons kienet l-oġġla (60%) f' dawk b' mastoċitozi sistemika aggressiva.

X' inhumta r-riskji assoċjati ma' Rydapt?

Meta użat biex jikkura AML, l-effetti sekondarji l-aktar komuni b' Rydapt (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma newtopenija bid-deni (deni u għadd baxx ta' ċelloli tad-demem bojod, osservati kważi fil-pazjenti kollha), dermatite bil-qxur (gilda infjammata, titqaxxar), remettar, uġiġh ta' ras, tbenġil (ponot žgħar tad-demem taħt il-gilda) u deni. L-effetti sekondarji severi l-aktar frekwenti kienu newtopenija bid-deni, limfopenija (għadd baxx ta' limfotiċi, tip partikolari ta' ċellola bajda tad-demem), infezzjonijiet fejn tkun il-kateter (tubu inserit f' vina), dermatite bil-qxur, zokkor għoli fid-demem u nawżja (dardir).

Meta użat għal disturbi fiċ-ċellola mast, l-effetti sekondarji l-aktar komuni (li jaffettwaw terz jew aktar tal-pazjenti kollha) kienu nawżja, remettar, dijarea, edema periferika (nefha tal-għekiesi u s-saqajn) u għeja. L-effetti sekondarji severi l-aktar komuni kienu għeja, sepsis (avvelenament tad-demem), pulmonite (infezzjoni fil-pulmun), newtopenija bid-deni u dijarea.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrapportati b' Rydapt, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Rydapt m' għandux jingħata lil pazjenti li jieħdu ċerti mediċini oħrajn li jaffettwaw il-mod ta' kif jiġi mmaniġġjat fil-ġisem. Għal-lista sħiħa ta' restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex għie approvat Rydapt?

Rydapt intwera li huwa ta' benefiċċju f' pazjenti b' AML assoċjata ma' mutazzjoni ta' FLT3. Is-sigurtà tal-medicina kienet aċċettabbli f' kundizzjoni daqshekk severa u tqieset maniġabbli.

F' disturbi taċ-ċellola mast, kien hemm ukoll evidenza importanti dwar l-effikaċja. Għalkemm Rydapt ma tqabbilx ma' kuri oħrajn, minħabba r-rarità tal-kundizzjonijiet u l-bżonn mediku li ma għiex issodisfat tal-pazjenti li għandhom dawn il-kundizzjonijiet, il-benefiċċji kliniċi kienu ċari, u l-effetti avversi aċċettabbli.

Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Rydapt huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomandat li jkun approvat għall-użu fl-UE.

X' miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Rydapt?

Il-kumpanija li tqiegħed Rydapt fis-suq ser tlesti tliet studji oħra sabiex tipprovdi l-Aġenzija b' evidenza biex tappoġġja l-effikaċja tal-medicina f' pazjenti anzjani b' AML.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Rydapt.

Informazzjoni oħra dwar Rydapt

L-EPAR sħiħ għal Rydapt jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b' Rydapt, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarji tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Medicinali Orfni għal Rydapt jinstabu fis-sit elettroniku tal-Aġenzija:

[lewkimja majelojde akuta](#)

[mastoċitożi](#)