



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

### Rydapt

midostauryna

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Rydapt. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Rydapt.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Rydapt należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

### Co to jest produkt Rydapt i w jakim celu się go stosuje?

Rydapt to lek przeciwnowotworowy stosowany w leczeniu osób dorosłych z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową (AML), nowotworem złośliwym krwinek białych. Stosuje się go na początku leczenia z innymi lekami przeciwnowotworowymi (chemioterapia) i samodzielnie po zakończeniu chemioterapii, jeżeli choroba reaguje na leczenie. Rydapt podaje się jedynie wtedy, gdy AML jest związana z pewną zmianą genetyczną zwaną mutacją FLT3.

Rydapt stosuje się także samodzielnie u osób dorosłych z następującymi zaburzeniami pewnego rodzaju krwinek białych znanych jako mastocyty: agresywnej mastocytozy układowej, mastocytozy układowej z nowotworem układu krwiotwórczego (rakiem krwi) lub białaczki mastocytarnej.

Ze względu na to, że liczba pacjentów z wymienionymi chorobami jest mała, choroby te są uważane za rzadko występujące, zatem produkt Rydapt uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w różnych terminach (zob. poniżej).

Rydapt zawiera substancję czynną midostaurynę.



## **Jak stosować produkt Rydapt?**

Rydapt wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinien rozpoczynać lekarz mający doświadczenie w stosowaniu terapii przeciwnowotworowych. Rydapt ma postać kapsułek zawierających 25 mg midostauryny. Typowa dawka początkowa wynosi 50 mg (dwie kapsułki) dwa razy na dobę w leczeniu AML, od 8. do 21. dnia 28-dniowego cyklu, a następnie codziennie po uzyskaniu odpowiedzi na leczenie. Leczenie kontynuuje się maksymalnie przez 12 cykli zależnie od reakcji pacjenta. W przypadku zaburzeń mastocytów dawka początkowa wynosi 100 mg (cztery kapsułki) dwa razy dziennie; leczenie kontynuuje się tak długo, jak długo pacjent odnosi z niego korzyści. Jeśli u pacjenta wystąpią określone ciężkie działania niepożądane, lekarz może podjąć decyzję o zmniejszeniu kolejnych dawek albo przerwaniu lub przełożeniu leczenia.

Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Jak działa produkt Rydapt?**

Substancja czynna produktu Rydapt, midostauryna, jest inhibitorem kinazy tyrozynowej. Oznacza to, że blokuje ona działanie niektórych enzymów zwanych receptorami o aktywności kinaz tyrozynowych. U pacjentów z mutacją FLT3 nieprawidłowa postać kinazy tyrozynowej FLT3 stymuluje przeżycie i wzrost komórek AML. Blokując nieprawidłowy enzym FLT3, Rydapt pomaga w wywołaniu śmierci nieprawidłowych komórek i kontroli rozprzestrzeniania się raka. Rydapt blokuje ponadto zmutowaną postać innego enzymu, kinazy KIT, która odgrywa ważną rolę w stymulacji nieprawidłowego wzrostu mastocytów u pacjentów z zaburzeniami mastocytów.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Rydapt zaobserwowano w badaniach?**

Udowodniono, że Rydapt poprawia czas przeżycia u pacjentów z AML związaną z mutacją FLT3. W jednym badaniu głównym, z udziałem 717 takich pacjentów, porównywano Rydapt z placebo (lekiem pozorowanym) na początku jako uzupełnienie innych leków przeciwnowotworowych, po którym następowało leczenie samym produktem Rydapt lub placebo u osób, które zareagowały na leczenie. Około 51% osób otrzymujących Rydapt i 43% przyjmujących placebo nadal żyło po 5 latach.

Korzyści udowodniono również w kolejnym badaniu głównym z udziałem 116 pacjentów z zaburzeniami mastocytów. W badaniu obserwowano reakcję na leczenie produktem Rydapt u pacjentów z agresywną mastocytozą układową, mastocytozą układową związaną z rakiem krwi lub białaczką mastocytarną. Ogółem, przy zastosowaniu najostrzejszych, aktualnych kryteriów, choroba reagowała na leczenie u około 28% pacjentów (32 ze 113). Przy oddzielnych analizach najwyższy wskaźnik odpowiedzi (60%) uzyskano u osób z agresywną mastocytozą układową.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Rydapt?**

Najczęstsze działania niepożądane produktu Rydapt w przypadku stosowania w leczeniu AML (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 10 osób) to gorączka neutropeniczna (gorączka i mała liczba krwinek białych, obserwowana niemal u wszystkich pacjentów), złuszczone zapalenie skóry (stan zapalny i łuszczenie skóry), wymioty, ból głowy, wybroczyny (plamki krwi pod skórą) i gorączka. Najczęstszymi ciężkimi działaniami niepożądanymi była gorączka neutropeniczna, limfopenia (mała liczba limfocytów, pewnego rodzaju krwinek białych), zakażenia w miejscu założenia cewnika (rurki wprowadzanej do żyły), złuszczone zapalenie skóry, wysokie stężenie cukru we krwi i nudności (mdłości).

Najczęstsze działania niepożądane w przypadku leczenia zaburzeń mastocytów (występujące u jednej trzeciej wszystkich pacjentów lub więcej) to nudności, wymioty, biegunka, obrzęk obwodowy (obrzęk

kostek i stóp) i zmęczenie. Najczęstszymi ciężkimi działaniami niepożądanymi było zmęczenie, sepsa (zatrucie krwi), zapalenie płuc, gorączka neutropeniczna i biegunka.

Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Rydapt znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Produktu Rydapt nie wolno stosować u pacjentów przyjmujących niektóre inne leki wpływające na sposób przetwarzania tego leku w organizmie. Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Rydapt?**

Udowodniono, że Rydapt przynosi korzyści u pacjentów z AML związaną z mutacją FLT3. Bezpieczeństwo stosowania leku było akceptowalne w takim ciężkim schorzeniu i uznano je za możliwe do opanowania.

W przypadku zaburzeń mastocytów również dostępne są istotne dowody na skuteczność. Mimo że leku Rydapt nie porównywano z innymi lekami, wobec rzadkości schorzeń i niespełnionych potrzeb leczniczych pacjentów, którzy na nie cierpią, korzyści kliniczne były wyraźne, a działania niepożądane akceptowalne.

W związku z tym Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania produktu Rydapt przewyższają ryzyko, i zaleciła jego dopuszczenie do stosowania w UE.

## **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Rydapt?**

Firma, która wprowadza lek Rydapt do obrotu, przeprowadzi trzy dodatkowe badania w celu przedstawienia Agencji dowodów na poparcie skuteczności leku u pacjentów w podeszłym wieku z AML.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Rydapt w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące produktu Rydapt**

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Rydapt znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Rydapt należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Rydapt znajduje się na stronie internetowej Agencji:

[ostra białaczka szpikowa](#)

[mastocytoza](#).