



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Rydapt

midostaurín

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Rydapt. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Rydapt.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Rydapt, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Rydapt a na čo sa používa?

Liek Rydapt je liek proti rakovine a používa sa na liečbu dospelých s novodiagnostikovanou akútnou myeloidnou leukémiou (AML), čo je rakovina bielych krviniek. Na začiatku sa používa s ďalšími liekmi proti rakovine (chemoterapiou) a po ukončení chemoterapie sa používa samostatne, ak choroba odpovedala na liečbu. Liek Rydapt sa podáva len vtedy, ak AML má určitú genetickú zmenu nazývanú mutácia FLT3.

Liek Rydapt sa používa samostatne u dospelých s týmito ochoreniami typu bielej krvinky známej ako mastocyt: agresívna systémová mastocytóza, systémová mastocytóza spojená s hematologickou neopláziou (rakovinou krvi) a mastocytová leukémia.

Keďže je počet pacientov s týmito ochoreniami nízky, ochorenia sa považujú za zriedkavé, a preto bol liek Rydapt k rôznym dátumom označený za liek na ojedinelé ochorenia (pozri ďalej).

Liek Rydapt obsahuje účinnú látku midostaurín.

Ako sa liek Rydapt používa?

Výdaj lieku Rydapt je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s používaním liekov proti rakovine. Liek Rydapt je dostupný ako kapsuly obsahujúce 25 mg

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



midostaurínu. Obvyklá úvodná dávka pri AML je 50 mg (dve kapsuly) dvakrát denne od 8. do 21. dňa 28-dňového liečebného cyklu a po odpovedi choroby na liečbu každý deň. V liečbe sa pokračuje počas 12 cyklov v závislosti od toho, ako pacienti odpovedajú na liečbu. Pri ochoreniach mastocytov je úvodná dávka 100 mg (štyri kapsuly) dvakrát denne. V liečbe sa pokračuje dovtedy, kým je pre pacienta prospešná. Ak sa u pacienta prejavia určité závažné vedľajšie účinky, lekár sa môže rozhodnúť znížiť následné dávky alebo oddialiť či zastaviť liečbu.

Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Rydapt účinkuje?

Účinná látka lieku Rydapt, midostaurín, je inhibítor tyrozínkinázy. To znamená, že blokuje činnosť určitých enzýmov známych ako receptory tyrozínkinázy. U pacientov s mutáciou FLT3 abnormálna forma FLT3 tyrozínkinázy stimuluje prežitie a rast buniek AML. Liek Rydapt blokuje abnormálny FLT3 enzým, a tak pomáha usmrcovať abnormálne bunky a regulovať šírenie rakoviny. Liek Rydapt blokuje mutovanú formu ďalšieho enzýmu, KIT kinázy, ktorá zohráva dôležitú úlohu pri stimulácii abnormálneho rastu mastocytov u pacientov s ochoreniami mastocytov.

Aké prínosy lieku Rydapt boli preukázané v štúdiách?

Preukázalo sa, že liek Rydapt zlepšuje prežitie pacientov s AML spojenou s mutáciou FLT3. V jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 717 pacientov, sa liek Rydapt porovnával s placebom (zdanlivý liek), pričom sa najskôr podávali ako doplnok k iným protirakovinovým liekom, a potom sa pacientom, ktorí odpovedali na liečbu, podával samostatne liek Rydapt alebo placebo. Asi 51 % pacientov, ktorým sa podával liek Rydapt, a 43 % pacientov, ktorým sa podávalo placebo, po 5 rokoch stále žilo.

V ďalšej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 116 pacientov s ochoreniami mastocytov, sa takisto preukázal prínos. V štúdii sa skúmala odpoveď na liečbu liekom Rydapt u pacientov s agresívnou systémovou mastocytózou, systémovou mastocytózou spojenou s rakovinou krvi alebo mastocytovou leukémiou. Pri použití najprísnejších aktuálnych kritérií celkovo choroba odpovedala na liečbu u asi 28 % pacientov (32 zo 113). Pokiaľ ide o reakciu pri jednotlivých chorobách, miera odpovede bola najvyššia (60 %) u pacientov s agresívnou systémovou mastocytózou.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Rydapt?

Ak sa liek Rydapt používa na liečbu AML, najčastejšie vedľajšie účinky (ktoré môžu postihnúť viac než 1 osobu z 10) sú febrilná neutropénia (horúčka a nízky počet bielych krviniek, pozorované u takmer všetkých pacientov), exfoliatívna dermatitída (zapálená, olupujúca sa koža), vracanie, bolesť hlavy, petechie (drobné krvné výronky pod kožou) a horúčka. Najčastejšie závažné vedľajšie účinky boli febrilná neutropénia, lymfopénia (nízky počet lymfocytov, čo je určitý typ bielych krviniek), infekcie v mieste katétra (cievka zavedená do žily), exfoliatívna dermatitída, vysoká hladina cukru v krvi a nauzea (pocit nevoľnosti).

Ak sa liek Rydapt používa na liečbu ochorení mastocytov, najbežnejšie vedľajšie účinky (postihujúce minimálne jednu tretinu pacientov) sú nauzea, vracanie, hnačka, periférny edém (opuchnutie členkov a chodidiel) a únava. Najbežnejšie závažné vedľajšie účinky boli únava, sepsa (otrava krvi), pneumónia (infekcia pľúc), febrilná neutropénia a hnačka.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Rydapt sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Rydapt sa nesmie podávať pacientom užívajúcich určité ďalšie lieky, ktoré ovplyvňujú spôsob, akým sa liek rozkladá v tele. Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Rydapt povolený?

Preukázalo sa, že liek Rydapt je prínosom pre pacientov s AML spojenou s mutáciou FLT3. Bezpečnosť lieku je prijateľná pri takomto závažnom ochorení a bola posúdená ako kontrolovateľná.

Pri ochoreniach mastocytov sa takisto významne preukázala účinnosť. Hoci sa Rydapt neporovnával s inými liekmi, vzhľadom na zriedkavosť ochorení a nesplnené liečebné potreby pacientov, boli klinické prínosy jasné a nežiaduce účinky prijateľné.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Rydapt sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním, a odporučila udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Rydapt?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Rydapt na trh, dokončí tri ďalšie štúdie a cieľom poskytnúť agentúre dôkazy na podporu účinnosti lieku u starších pacientov s AML.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Rydapt boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Rydapt

Úplné znenie správy EPAR o lieku Rydapt sa nachádza na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Rydapt, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Súhrny stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Rydapt sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

[akútna myeloidná leukémia](#)

[mastocytóza](#).