



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Rydapt

midostavrin

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Rydapt. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Rydapt naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Rydapt in za kaj se uporablja?

Rydapt je zdravilo za zdravljenje raka, ki se uporablja pri odraslih z novo diagnosticirano akutno mieloično levkemijo (AML), vrsto raka, ki prizadene bele krvne celice. Na začetku se uporablja skupaj z drugimi zdravili za zdravljenje raka (kemoterapijo), nato pa samostojno, ko je kemoterapija zaključena, če se je bolezen odzvala na zdravljenje. Zdravilo Rydapt se daje le, kadar ima AML posebno genetsko spremembo, imenovano mutacija FLT3.

Zdravilo Rydapt se samostojno uporablja tudi pri odraslih z naslednjimi boleznimi vrste belih krvnih celic, imenovanih mastociti: agresivno sistemsko mastocitozo, sistemsko mastocitozo, povezano s hematološko neoplazmo (krvnim rakom), in mastocitno levkemijo.

Ker je bolnikov s temi boleznimi malo, veljajo za redke, zato je bilo zdravilo Rydapt večkrat (glejte datume spodaj) določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Zdravilo Rydapt vsebuje zdravilno učinkovino midostavrin.

Kako se zdravilo Rydapt uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Rydapt je le na recept, zdravljenje pa mora začeti zdravnik, ki ima izkušnje z uporabo zdravil za zdravljenje raka. Zdravilo Rydapt je na voljo v obliki kapsul, ki vsebujejo 25 mg midostavrina. Pri AML je običajni začetni odmerek 50 mg (dve kapsuli) dvakrat na dan od 8. do



21. dne 28-dnevnega cikla zdravljenja, nato pa vsak dan, potem ko se je bolezen odzvala. Zdravljenje traja do 12 ciklov, odvisno od bolnikovega odziva. Pri boleznih mastocitov je začetni odmerek 100 mg (štiri kapsule) dvakrat na dan; zdravljenje se nadaljuje, dokler bolniku koristi. Če se pri bolniku pojavijo določeni resni neželeni učinki, se lahko zdravnik odloči za zmanjšanje nadaljnjih odmerkov, za odložitev ali ukinitve zdravljenja.

Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Rydapt deluje?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Rydapt, midostavrin, je „zaviralec tirozin kinaze“. To pomeni, da zavira delovanje encimov, imenovanih receptorji tirozin kinaze. Pri bolnikih z mutacijo FLT3, nenormalno obliko tirozin kinaze FLT3, spodbuja preživetje in rast celic AML. Zdravilo Rydapt z zaviranjem nenormalnega encima FLT3 pripomore k uničenju nenormalnih celic in nadzoru širjenja raka. Zdravilo Rydapt tudi zavira mutirano obliko drugega encima, KIT-kinaze, ki ima pomembno vlogo pri spodbujanju nenormalne rasti mastocitov pri bolnikih z boleznimi mastocitov.

Kakšne koristi je zdravilo Rydapt izkazalo v študijah?

Dokazali so, da zdravilo Rydapt podaljša preživetje pri bolnikih z AML, povezano z mutacijo FLT3. V eni glavni študiji, ki je vključevala 717 takih bolnikov, so primerjali zdravilo Rydapt s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine), na začetku kot dodatek drugim zdravilom proti raku, nato pa v obliki samostojnega zdravljenja z zdravilom Rydapt ali placebom pri bolnikih, pri katerih se je bolezen odzvala. Približno 51 % bolnikov, ki so prejeli zdravilo Rydapt, in 43 % tistih, ki so prejeli placebo, je bilo po 5 letih še vedno živih.

Koristi so dokazali tudi v drugi glavni študiji, ki je vključevala 116 bolnikov z boleznimi mastocitov. V študiji so preučevali odziv na zdravljenje z zdravilom Rydapt pri bolnikih z agresivno sistemsko mastocitozo, sistemsko mastocitozo, povezano s krvnim rakom, ali mastocitno levkemijo. Ob uporabi najstrožjih in najnovejših kriterijev se je bolezen skupno odzvala na zdravljenje pri približno 28 % (32 od 113) bolnikov. Ob ločeni obravnavi bolezni je bila stopnja odziva najvišja (60 %) pri bolnikih z agresivno sistemsko mastocitozo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Rydapt?

Kadar se zdravilo Rydapt uporablja za zdravljenje AML, so najpogostejši neželeni učinki (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 bolniku od 10) febrilna nevtropenija (zvišana telesna temperatura in nizko število belih krvnih celic, kar se pojavi pri skoraj vseh bolnikih), ekfoliativni dermatitis (vneta koža, ki se lušči), bruhanje, glavobol, petehije (drobne krvave pike pod kožo) in zvišana telesna temperatura. Najpogostejši resni neželeni učinki so bili febrilna nevtropenija, limfopenija (nizko število limfocitov, posebne vrste belih krvnih celic), okužbe na mestu katetra (cevke, vstavljene v veno), ekfoliativni dermatitis, visoka raven sladkorja v krvi in navzea (siljenje na bruhanje).

Kadar se je zdravilo uporabljalo za zdravljenje bolezni mastocitov, so bili najpogostejši neželeni učinki (ki se pojavijo pri eni tretjini bolnikov ali več) navzea, bruhanje, driska, periferni edem (otekanje gležnjev in stopal) ter utrujenost. Najpogostejši resni neželeni učinki so bili utrujenost, sepsa (zastrupitev krvi), pljučnica (okužba pljuč), febrilna nevtropenija in driska.

Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Rydapt, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Rydapt se ne sme dajati bolnikom, ki jemljejo nekatera druga zdravila, ki vplivajo na način njegove presnove v telesu. Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Rydapt odobreno?

Dokazano je bilo, da zdravilo Rydapt koristi bolnikom z AML, povezano z mutacijo FTL3. Pri tako hudi bolezni je bila varnost zdravila sprejemljiva in ocenjena kot obvladljiva.

Tudi za bolezni mastocitov obstajajo pomembni dokazi o učinkovitosti. Čeprav zdravila Rydapt niso primerjali z nobenim drugim zdravilom, so klinične koristi glede na redkost bolezni in neizpolnjene zdravstvene potrebe bolnikov, ki imajo te bolezni, jasne, neželeni učinki pa sprejemljivi.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Rydapt večje od z njim povezanih tveganj, in priporočila, da se odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Rydapt?

Družba, ki trži zdravilo Rydapt, bo izvedla še tri študije in agenciji predložila dokaze v podporo učinkovitosti zdravila pri starejših bolnikih z AML.

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Rydapt upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Rydapt

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Rydapt je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Rydapt preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Rydapt je na voljo na spletni strani agencije:

[akutna mieloična levkemija,](#)

[mastocitoza.](#)