



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Rydapt

midostaurin

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Rydapt. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Rydapt ska användas.

Praktisk information om hur Rydapt ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Rydapt och vad används det för?

Rydapt är ett cancerläkemedel som används för att behandla vuxna med nydiagnostiserad akut myeloisk leukemi (AML), en cancer i de vita blodkropparna. Det används inledningsvis med andra cancerläkemedel (kemoterapi) och som enda läkemedel efter att kemoterapin slutförts om sjukdomen har svarat på behandling. Rydapt ges bara när AML har en särskild genetisk förändring som kallas FLT3-mutation.

Rydapt ges också som enda läkemedel till vuxna med följande sjukdomar i en typ av vita blodkroppar som kallas mastceller: aggressiv systemisk mastocytos, systemisk mastocytos associerad med hematologisk neoplasma (blodcancer) och mastcellsleukemi.

Eftersom antalet patienter med dessa sjukdomar är litet betraktas sjukdomarna som sällsynta och Rydapt klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) vid olika tillfällen (se nedan).

Rydapt innehåller den aktiva substansen midostaurin.

Hur används Rydapt?

Rydapt är receptbelagt och behandling ska sättas in av läkare med erfarenhet av användning av cancerläkemedel. Rydapt finns som kapslar innehållande 25 mg midostaurin. Den vanliga startdosen är



50 mg (två kapslar) två gånger om dagen för AML, dag 8 till 21 i en 28-dagars behandlingscykel, och därefter varje dag efter att sjukdomen svarat på behandling. Behandlingen fortsätter i upp till 12 cykler beroende på hur patienterna svarar. För mastcellssjukdomar är startdosen 100 mg (fyra kapslar) två gånger dagligen; behandlingen fortsätter så länge den är till nytta för patienten. Om en patient får vissa allvarliga biverkningar kan läkaren besluta att sänka efterföljande doser, skjuta upp eller avbryta behandlingen.

Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Rydapt?

Den aktiva substansen i Rydapt, midostaurin, är en "tyrosinkinashämmare". Detta innebär att den blockerar verkan av vissa enzymer som kallas receptortyrosinkinaser. Hos patienter med en FLT3-mutation stimulerar en onormal form av FLT3-tyrosinkinasa AML-cellernas överlevnad och tillväxt. Genom att blockera detta onormala FLT3-enzym bidrar Rydapt till att de onormala cellerna dör och att cancerens spridning kontrolleras. Rydapt blockerar även en muterad form av ett annat enzym, KIT-kinasa, som spelar en viktig roll i stimuleringen av den onormala tillväxten av mastceller hos patienter med mastcellssjukdomar.

Vilken nytta med Rydapt har visats i studierna?

Rydapt har visat sig förbättra överlevnaden hos patienter med AML förknippad med en FLT3-mutation. I en huvudstudie på 717 sådana patienter jämfördes Rydapt med placebo (en överksam behandling), inledningsvis som tillägg till andra cancerläkemedel, följt av behandling med Rydapt eller placebo som enda medel hos dem vars sjukdom svarade på behandling. Omkring 51 procent av dem som fick Rydapt och 43 procent av dem som fick placebo levde fortfarande efter 5 år.

En annan huvudstudie på 116 patienter med mastcellssjukdomar visade också nytta. I studien undersöktes svaret på behandling med Rydapt hos patienter med aggressiv systemisk mastocytos, systemisk mastocytos associerad med blodcancer och mastcellsleukemi. Med hjälp av de striktaste aktuella kriterierna svarade sjukdomen på behandling hos totalt omkring 28 procent av patienterna (32 av 113). Vid separat undersökning var svarsfrekvensen högst (60 procent) hos dem med aggressiv systemisk mastocytos.

Vilka är riskerna med Rydapt?

Vid behandling av AML är de vanligaste biverkningarna som orsakas av Rydapt (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) febril neutropeni (feber och låga antal vita blodkroppar, ses hos nästan alla patienter), exfoliativ dermatit (inflammerad, fjällande hud), kräkningar, huvudvärk, petekier (små blodfläckar under huden) och feber. De vanligaste allvarliga biverkningarna var febril neutropeni, lymfopeni (låga antal lymfocyter, en särskild typ av vita blodkroppar), infektioner vid platsen för en kateter (en slang som förs in i en ven), exfoliativ dermatit, högt blodsocker och illamående.

Vid användning för mastcellssjukdomar var de vanligaste biverkningarna (drabbar minst en tredjedel av alla patienter) illamående, kräkningar, diarré, perifert ödem (svullnad i vrister och fötter) och trötthet. De vanligaste allvarliga biverkningarna var trötthet, sepsis (blodförgiftning), pneumoni (lunginfektion), febril neutropeni och diarré.

En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Rydapt finns i bipacksedeln.

Rydapt får inte ges till patienter som tar vissa andra läkemedel som påverkar dess hantering i kroppen. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Rydapt?

Rydapt har visat sig vara till nytta för patienter med AML förknippad med en FLT3-mutation. Läkemedlets säkerhet var acceptabel vid en sådan svår sjukdom och ansågs vara hanterbar.

Vid mastcellssjukdomar fanns det också viktiga bevis för effekt. Även om Rydapt inte hade jämförts med andra behandlingar var den kliniska nyttan tydlig och biverkningarna acceptabla, med tanke på hur sällsynta sjukdomarna är och det ouppfyllda medicinska behovet hos de drabbade patienterna.

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann därför att nyttan med Rydapt är större än riskerna och rekommenderade att Rydapt skulle godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Rydapt?

Företaget som marknadsför Rydapt kommer att slutföra tre ytterligare studier för att förse myndigheten med belägg till stöd för läkemedlets effekt hos äldre patienter med AML.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Rydapt har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Rydapt

EPAR för Rydapt finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Rydapt finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningarna av ställningstagandet om Rydapt från kommittén för sär läkemedel finns på EMA:s webbplats

[akut myeloisk leukemi](#)

[mastocytos](#).