



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19 de junio de 2025
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Resultado de la evaluación del uso de Revolade en el tratamiento de la anemia aplásica grave en niños

La Agencia Europea de Medicamentos ha finalizado la evaluación de una solicitud de ampliación del uso de Revolade para incluir a niños con anemia aplásica grave (SAA). Aunque la EMA no recomendó este uso, acordó que los datos pertinentes del estudio presentado con la solicitud se incluyeran en la información sobre el producto del medicamento, de modo que los profesionales sanitarios tengan acceso a datos actualizados sobre los efectos de Revolade en las personas con SAA.

¿Qué es Revolade y para qué se utiliza?

Revolade es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de:

- trombocitopenia inmune primaria (TIP), una enfermedad en la que el sistema inmunitario del paciente destruye las plaquetas (componentes de la sangre que contribuyen a la coagulación). Los pacientes con TPI presentan bajos recuentos de plaquetas en la sangre (trombocitopenia) y corren el riesgo de sufrir hemorragias. Revolade se utiliza en pacientes a partir de 1 año de edad que no han respondido al tratamiento con medicamentos como los corticosteroides o las inmunoglobulinas. En niños y adolescentes, el medicamento se utiliza cuando han padecido la enfermedad durante al menos 6 meses;
- trombocitopenia en adultos con hepatitis C crónica (de larga duración), una enfermedad del hígado causada por el virus de la hepatitis C. Revolade se utiliza cuando la trombocitopenia es demasiado grave como para permitir el tratamiento con interferón (un tipo de tratamiento contra la hepatitis C);
- La SAA adquirida (una enfermedad en la que la médula ósea no produce suficientes células sanguíneas o plaquetas). Adquirida significa que la enfermedad no es hereditaria. Revolade se utiliza en pacientes cuya enfermedad no está controlada por tratamiento inmunosupresor (con medicamentos que rebajan las defensas inmunitarias del organismo) y no pueden recibir el trasplante de células madre hematopoyéticas (en el que la médula ósea del paciente se sustituye por células madre de un donante para formar nueva médula ósea).

Revolade está autorizado en la UE desde marzo de 2010. Contiene el principio activo eltrombopag y se presenta en forma de comprimidos y en forma de polvo para preparar una suspensión (un líquido) que debe tomarse por vía oral.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Se puede obtener más información sobre las indicaciones actuales de Revolade en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

¿Qué modificación había solicitado la empresa?

La empresa solicitó ampliar el uso de Revolade a niños de más de 2 años de edad que padecen SAA no controlada por tratamiento inmunosupresor o que ha reaparecido después del mismo y que no pueden recibir un trasplante de células madre hematopoyéticas.

¿Cómo actúa Revolade?

En el organismo existe una hormona natural denominada trombopoyetina que estimula la producción de plaquetas uniéndose a determinados receptores (dianas) de la médula ósea y activándolos. Al igual que la trombopoyetina, el principio activo de Revolade, el eltrombopag, también se une a los receptores de la trombopoyetina y los estimula. Esto aumenta la producción de plaquetas, mejora su recuento y reduce el riesgo de hemorragia. En algunos pacientes con SAA, Revolade también puede aumentar la producción de células sanguíneas. En niños de más de 2 años con anemia aplásica grave, se espera que Revolade actúe de la misma forma que lo hace en adultos con esta enfermedad.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó los resultados de un estudio principal en curso en el que participaron 51 niños de más de 2 años con SAA que no pudieron recibir trasplantes de células madre hematopoyéticas. En este estudio, 37 niños no habían recibido tratamiento previo y 14 habían recibido tratamiento inmunosupresor, pero su enfermedad no estaba controlada o había reaparecido. Todos los niños recibieron Revolade en combinación con un tratamiento inmunosupresor durante 26 semanas. El medicamento no se comparó con ningún otro tratamiento ni con un placebo (un tratamiento ficticio). El principal objetivo del estudio era evaluar el comportamiento de Revolade en niños. Los objetivos secundarios incluyeron la evaluación de la seguridad y la eficacia del medicamento.

¿Cuáles fueron las conclusiones de la EMA?

La EMA señaló que, aunque los resultados del estudio presentado por el solicitante sugieren que los niños con SAA podrían beneficiarse del tratamiento con Revolade, solo 14 pacientes del estudio se correspondían con el uso previsto. Este número se consideró demasiado pequeño para extraer conclusiones firmes sobre la eficacia y la seguridad de Revolade en estos niños.

Por consiguiente, la EMA concluyó que la seguridad y la eficacia de Revolade no se han establecido suficientemente en niños con SAA y que no debe autorizarse en estos pacientes. No obstante, la información relativa a la prescripción de Revolade se actualizará para incluir los datos pertinentes, de modo que los profesionales sanitarios tengan acceso a datos actualizados sobre los efectos de Revolade en niños que padecen SAA.

¿Qué consecuencias tiene este resultado para los pacientes que participan en ensayos clínicos/programas de uso compasivo?

La empresa informó a la Agencia de que el estudio de Revolade en niños que padecen SAA se ha completado recientemente y de que no hay ningún otro estudio en curso en estos niños.