



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumen del EPAR para el público general

Rydapt

midostaurina

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) para Rydapt. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado el medicamento y ha emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Rydapt.

Para más información sobre el tratamiento con Rydapt, el paciente debe leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Rydapt y para qué se utiliza?

Rydapt es un medicamento contra el cáncer e indicado para el tratamiento en adultos recientemente diagnosticados de la leucemia mieloide aguda (LMA), un tipo de cáncer que afecta a los glóbulos blancos de la sangre. Al principio se usa en terapia combinada con otros medicamentos contra el cáncer (quimioterapia) y después se administra en monoterapia una vez finalizada la quimioterapia, en caso de que la enfermedad haya respondido al tratamiento. Rydapt solo se administra cuando la LMA presenta una alteración genética específica llamada mutación de FLT3.

Rydapt también se utiliza en monoterapia en adultos con los siguientes trastornos que afectan a un tipo de glóbulos blancos llamados mastocitos: mastocitosis sistémica agresiva, mastocitosis sistémica asociada a una neoplasia hematológica (cáncer de la sangre) y leucemia de mastocitos.

Dado que el número de pacientes afectados por estas enfermedades es escaso, estas enfermedades se consideran «raras», por lo que Rydapt fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) en fechas diversas (ver más abajo).

Rydapt contiene el principio activo midostaurina.

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



¿Cómo se usa Rydapt?

Rydapt solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo un médico con experiencia en el uso de medicamentos contra el cáncer. Rydapt se presenta en cápsulas duras que contienen 25 mg de midostaurina. La dosis inicial habitual es de 50 mg (dos cápsulas) dos veces al día en el tratamiento de la LMA, entre los días 8 y 21 de un ciclo de tratamiento de 28 días, y después todos los días una vez la enfermedad ha respondido. El tratamiento se mantiene durante un máximo de 12 ciclos, en función de la respuesta del paciente. En el tratamiento de los trastornos de los mastocitos, la dosis inicial es de 100 mg (cuatro cápsulas) dos veces al día. El tratamiento se mantiene mientras resulte beneficioso para el paciente. Si el paciente sufre determinados efectos adversos graves, el médico puede decidir reducir las dosis posteriores o aplazar o suspender el tratamiento.

Para más información, consulte el prospecto.

¿Cómo actúa Rydapt?

La midostaurina, principio activo de Rydapt, es un «inhibidor de la tirosina cinasa», lo que significa que bloquea la acción de determinadas enzimas conocidas como receptores de tirosina cinasa. En los pacientes que presentan una mutación de FLT3, una forma anómala de la tirosina cinasa FLT3 estimula la supervivencia y el crecimiento de las células de LMA. Al inhibir la acción de la enzima FLT3 anómala, Rydapt ayuda a destruir las células anormales y a controlar la propagación del cáncer. Rydapt también bloquea una forma mutada de otra enzima, la cinasa KIT, que contribuye a estimular el crecimiento descontrolado de los mastocitos en los pacientes con trastornos que afectan a estas células.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Rydapt en los estudios realizados?

Se ha demostrado que Rydapt mejora la supervivencia en pacientes con LMA asociada a una mutación de FLT3. En un estudio principal en el que participaron 717 pacientes que presentaban este trastorno, se comparó Rydapt con un placebo (tratamiento ficticio) inicialmente como suplemento de otros medicamentos contra el cáncer, tras lo cual se administró Rydapt o placebo en monoterapia en los pacientes cuya enfermedad había respondido al tratamiento. Aproximadamente el 51 % de aquellos a los que se les administró Rydapt y el 43 % de los tratados con placebo seguían vivos al cabo de 5 años.

En otro estudio principal en el que participaron 116 pacientes con trastornos de los mastocitos también se observó el beneficio aportado por el tratamiento. El estudio analizó la respuesta al tratamiento con Rydapt en pacientes con mastocitosis sistémica agresiva, mastocitosis sistémica asociada a un cáncer de la sangre o leucemia de mastocitos. En general, utilizando los criterios más rigurosos y actualizados, la enfermedad respondió al tratamiento en aproximadamente el 28 % de los pacientes (32 de 113). Al considerar los trastornos por separado, la mayor tasa de respuesta (el 60 %) se observó en los pacientes con mastocitosis sistémica agresiva.

¿Cuál es el riesgo asociado a Rydapt?

Cuando se administró para tratar la LMA, los efectos adversos más frecuentes de Rydapt (pueden afectar a más de 1 de cada 10 personas) fueron neutropenia febril (fiebre y descenso del recuento de glóbulos blancos; se observó en casi todos los pacientes), dermatitis exfoliativa (inflamación y descamación de la piel), vómitos, cefalea, petequias (hemorragias diminutas bajo la piel) y fiebre. Los efectos adversos graves más frecuentes fueron neutropenia febril, linfopenia (descenso del recuento de linfocitos, un tipo específico de glóbulos blancos), infecciones asociadas a catéteres (tubos que se introducen en las venas), dermatitis exfoliativa, niveles elevados de azúcar en sangre y náuseas (ganas de vomitar).

Cuando se administró para tratar los trastornos de los mastocitos, los efectos adversos más frecuentes (que afectaron al menos a la tercera parte de los pacientes) fueron náuseas, vómitos, diarrea, edema periférico (hinchazón de los tobillos y los pies) y cansancio. Los efectos adversos graves más frecuentes fueron cansancio, septicemia (infección de la sangre), neumonía (infección pulmonar), neutropenia febril y diarrea.

Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Rydapt, ver el prospecto.

Rydapt no debe administrarse a pacientes que tomen determinados medicamentos que puedan alterar cómo lo asimila el organismo. La lista completa de restricciones se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Rydapt?

Se ha demostrado que Rydapt es beneficioso para los pacientes con LMA asociada a una mutación de FLT3. El perfil de seguridad del medicamento fue aceptable en esta grave enfermedad y se consideró controlable.

En los trastornos de los mastocitos también se obtuvieron pruebas importantes de su eficacia. Aunque Rydapt no se ha comparado con otros medicamentos, se considera que sus beneficios clínicos son claros y que sus efectos adversos son aceptables, dada la rareza de estas enfermedades y la necesidad médica no cubierta de los pacientes afectados.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió, por tanto, que los beneficios de Rydapt son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Rydapt?

La empresa que comercializa Rydapt llevará a cabo otros tres estudios para presentar a la Agencia pruebas que respalden la eficacia del medicamento en pacientes ancianos con LMA.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Rydapt se han incluido en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

Otras informaciones sobre Rydapt

El EPAR completo de Rydapt se puede consultar en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mayor información sobre el tratamiento con Rydapt, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Rydapt se puede consultar en la página web de la Agencia:

[leucemia mieloide aguda](#)

[mastocitosis](#).