



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19. kesäkuuta 2025
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Revoladen käyttöä lasten vaikean aplastisen anemian hoidossa koskevan arvioinnin tulokset

Euroopan lääkevirasto on saanut valmiiksi arviointinsa hakemuksesta, joka koskee Revoladen käytön laajentamista lapsiin, joilla on vaikea aplastinen anemia. Lääkevirasto ei suositellut kyseistä käyttöä. Se kuitenkin katsoi, että käyttö voidaan hyväksyä, edellyttäen, että hakemuksen mukana toimitetusta tutkimuksesta saadut merkitykselliset tiedot sisällytetään lääkkeen tuotetietoihin, jotta terveydenhuollon ammattilaiset saavat ajantasaista tietoa Revoladen vaikutuksista vaikeaa aplastista anemiam sairastaviin ihmisiin.

Mitä Revolade on ja mihin sitä käytetään?

Revolade on lääke, jolla hoidetaan seuraavia sairauksia:

- Primaarinen immuunivälitteinen trombositopenia (ITP), jossa potilaan immuunijärjestelmä tuhoaa verihiutaleita (veren osatekijöitä, jotka edistävät veren hyytymistä). ITP:tä sairastavien potilaiden verihiutaleiden määrä on alhainen (trombositopenia), minkä vuoksi heillä on verenvuodon riski. Revoladella hoidetaan vähintään vuoden ikäisiä potilaita, joihin esimerkiksi kortikosteroidi- tai immunoglobuliinihoito ei ole tehonnut. Lääkettä voidaan antaa lapsille ja nuorille, joilla on ollut kyseinen sairaus vähintään kuuden kuukauden ajan.
- Trombositopenia aikuisilla, joilla on krooninen (pitkäaikainen) hepatiitti C. Se on hepatiitti C -viruksen aiheuttama maksasairaus. Revoladea annetaan, kun interferonipohjaista hoitoa (eräs hepatiitti C -viruksen hoitomuoto) ei voida käyttää trombositopenian vaikeuden vuoksi.
- Hankinnainen vaikea aplastinen anemia (sairaus, jossa luuydin ei tuota riittävästi verisoluja tai verihiutaleita). Hankinnainen tarkoittaa, että sairaus ei ole perinnöllinen. Revoladea annetaan potilaille, joiden sairautta ei saada hallintaan immunosuppressiivisella hoidolla (lääkkeillä, jotka heikentävät elimistön puolustusmekanismia) ja joille ei voi tehdä hematopoieettista kantasolusiirtoa (jossa potilaan luuydin korvataan luovuttajan kantasoluilla uuden luuytimen muodostamiseksi).

Revoladella on ollut myyntilupa EU:ssa maaliskuusta 2010 alkaen. Sen vaikuttava aine on eltrombopagi, ja sitä on saatavana tabletteina sekä jauheena, josta valmistetaan suun kautta otettava suspensio (neste).

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



Lisätietoja Revoladen nykyisistä käyttöaiheista on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

Mitä muutosta yhtiö haki?

Yhtiö haki lupaa laajentaa Revoladen käyttö vähintään kaksivuotiaisiin lapsiin, joilla on vaikea aplastinen anemia, joiden tautia ei ole saatu hallintaan immunosuppressiivisella hoidolla tai joiden tauti on uusiutunut hoidon jälkeen ja joille ei voida tehdä hematopoieettista kantasolusiirtoa.

Miten Revolade vaikuttaa?

Trombopoietiini-niminen luonnollinen hormoni kiihdyttää verihiutaleiden tuotantoa elimistössä kiinnittymällä kohdereseptoreihin luuytimessä ja aktivoimalla ne. Trombopoietiinin tavoin myös Revoladen vaikuttava aine eltrombopagi kiinnittyy trombopoietinireseptoreihin ja stimuloi niitä. Tämä parantaa verihiutaleiden tuotantoa, lisää verihiutaleiden määrää ja pienentää verenvuotoriskiä. Joillakin vaikeaa aplastista anemiaa sairastavilla potilailla Revolade voi myös lisätä verisolujen tuotantoa. Vaikeaa aplastista anemiaa sairastavilla vähintään kaksivuotiailla lapsilla Revoladen odotetaan vaikuttavan samalla tavalla kuin samaa tautia sairastavilla aikuisilla.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitteli tuloksia meneillään olevasta päätutkimuksesta. Siihen osallistuu 51 vähintään kaksivuotiaasta lasta, joille ei voitu tehdä hematopoieettista kantasolusiirtoa. Tutkimukseen osallistuvista lapsista 37 ei ollut saanut aiempaa hoitoa. Loput 14 lasta oli saanut immunosuppressiivista hoitoa, mutta heidän sairauttaan ei ollut saatu hallintaan tai se oli uusiutunut. Kaikki lapset saivat Revoladea yhdessä immunosuppressiivisen hoidon kanssa 26 viikon ajan. Lääkettä ei verrattu muihin hoitoihin tai lumelääkkeeseen. Tutkimuksen päätavoitteena oli arvioida Revoladen vaikutusta lapsiin. Toissijaisena tavoitteena oli muun muassa lääkkeen turvallisuuden ja tehon arviointi.

Mitkä olivat Euroopan lääkeviraston päätelmät?

Lääkevirasto totesi, että vaikka hakijan toimittaman tutkimuksen tulokset viittaavat siihen, että vaikeaa aplastista anemiaa sairastavat lapset voivat hyötyä Revolade-hoidosta, tutkimukseen osallistuneista potilaista vain 14 soveltui aiottuun käyttötarkoitukseen. Tämän määrän ei katsottu riittävän varmojen johtopäätösten tekemiseen Revoladen tehosta ja turvallisuudesta tällaisilla lapsilla.

Näin ollen virasto totesi, että Revoladen turvallisuudesta ja tehosta vaikeaa aplastista anemiaa sairastavilla lapsilla ei ole riittävää näyttöä ja että sille ei pitäisi myöntää näitä potilaita koskevaa myyntilupaa. Revoladen määräämistä koskevat tiedot kuitenkin päivitetään lisäämällä niihin merkitykselliset tiedot. Näin terveydenhuollon ammattilaisilla on käytettävissään ajantasaista tietoa Revoladen vaikutuksista vaikeaa aplastista anemiaa sairastavilla lapsilla.

Vaikuttaako tämä tulos klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että tutkimus Revoladen käytöstä vaikeaa aplastista anemiaa sairastavilla lapsilla on hiljattain saatettu päätökseen ja että käynnissä ei ole muita tällaisia lapsia koskevia tutkimuksia.