

EMA/790608/2017
EMA/H/C/000942

Julkinen EPAR-yhteenvedo

Nplate

romiplostiimi

Tämä on yhteenvedo Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Nplate-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt suosituksiin myyntiluvan myöntämisestä sille EU:n alueella sekä valmisteen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Nplaten käytöstä.

Potilas saa Nplaten käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Nplate on ja mihin sitä käytetään?

Nplatella hoidetaan vähintään 1-vuotiaita potilaita, jotka sairastavat pitkäaikaista immunologista trombosytopeenista purppuraa (ITP:tä). Se on sairaus, jossa potilaan immuunijärjestelmä tuhoaa verihiutaleita (veren osasia, jotka vaikuttavat veren hyytymiseen). ITP:tä sairastavien potilaiden verihiutaleiden määrä on pieni, minkä vuoksi heillä on verenvuotoriski.

Nplatea käytetään silloin, kun esimerkiksi kortikosteroideilla tai immunoglobuliineilla annettava hoito ei ole onnistunut. Nplatea voidaan käyttää potilailla, joiden perna on poistettu sairauden takia, sekä potilailla, joilla on perna. Perna on mahan takana oleva elin, joka osallistuu verihiutaleiden poistamiseen verestä.

Koska ITP:tä sairastavia potilaita on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi, ja Nplate nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 27. toukokuuta 2005.

Nplaten vaikuttava aine on romiplostiimi.

Miten Nplatea käytetään?

Nplatea saa vain lääkärin määräyksestä, ja hoito on annettava sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta verisairauksien hoitamisesta.

Nplate on kuiva-aine, josta sekoitetaan liuos injeksiota varten. Se annetaan kerran viikossa pistoksena ihon alle. Aloitusannos määräytyy potilaan painon mukaan, ja sitä muutetaan siten, että tavoitteena

ollut verihiutaleiden määrä saadaan säilytettyä. Hoito on lopetettava, jos verihiutaleiden määrä ei ole kasvanut verenvuotoriskin pienentämisen kannalta tarpeeksi neljän hoitoviikon jälkeen Nplaten enimmäisannosta käytettäessä. Aikuiset, joiden verihiutaleiden määrä on vakaa, voivat injektoida lääkkeen itse sen jälkeen, kun he ovat saaneet siihen asianmukaisen opastuksen.

Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Nplate vaikuttaa?

Nplaten vaikuttava aine, romiplostiimi, lisää verihiutaleiden tuotantoa. Elimistössä trombopoietiini-niminen hormoni normaalisti kiihdyttää verihiutaleiden tuotantoa luuytimessä. Romiplostiimi on kehitetty kiinnittymään samoihin kohteisiin (reseptoreihin) kuin trombopoietiini ja stimuloimaan niitä. Trombopoietinin toimintaa jäljittelemällä romiplostiimi kiihdyttää verihiutaleiden tuotantoa, jolloin niiden määrä kasvaa ja verenvuodon riski pienenee.

Mitä hyötyä Nplatesta on havaittu tutkimuksissa?

Kahdessa aikuisilla ja yhdessä lapsilla tehdyssä tutkimuksessa todettiin, että Nplate on tehokas pitkäaikaisen ITP:n hoidossa. Kaikissa tutkimuksissa Nplatea verrattiin lumelääkkeeseen. Potilaita hoidettiin 24 viikkoa. Tehon päämittana oli verihiutaleiden määrän suureneminen niin, että niitä oli yli 50 miljoonaa millilitrassa verta vähintään kuutena viikkona kahdeksan viimeisen hoitoviikon aikana. Jos verihiutaleiden määrä on alle 30 miljoonaa millilitrassa, potilailla on verenvuodon riski. Normaali määrä on 150–400 miljoonaa verihiutaleita millilitrassa.

Ensimmäisessä tutkimuksessa oli 63 potilaita, joiden sairautta ei ollut saatu hallintaan pernan poistosta huolimatta. Verihiutaleiden määrä ylitti raja-arvon 38 prosentilla Nplatea saaneista potilaista (16 potilasta 42:sta), kun taas lumelääkettä saaneista niin ei käynyt yhdelläkään 21 potilaasta.

Toisessa tutkimuksessa oli 62 potilasta, joiden ITP:tä oli hoidettu aiemmin (mutta joiden pernaa ei ollut poistettu). Verihiutaleiden määrä ylitti raja-arvon 61 prosentilla Nplatea saaneista potilaista (25 potilasta 41:stä), kun taas lumelääkettä saaneista näin oli vain viidellä prosentilla potilaista (yhdellä potilaalla 21:stä).

Lapsilla tehtyyn tutkimukseen osallistui 62 potilasta, joiden ikä oli 1–17 vuotta. Näiden lasten ITP:tä oli hoidettu aiemmin (ja joiltakin lapsilta oli poistettu perna). Verihiutaleiden määrä ylitti raja-arvon 52 prosentilla Nplatea saaneista potilaista (22 potilasta 42:sta), kun taas lumelääkettä saaneista näin oli vain 10 prosentilla potilaista (kahdella potilaalla 20:stä).

Pitkäaikaisissa tutkimuksissa, joihin osallistui yli 1 000 potilasta, joista joitakin oli hoidettu yli viisi vuotta, vahvistettiin, että Nplaten teho säilyi sekä potilailla, joiden perna oli poistettu, että potilailla, joilla oli perna.

Mitä riskejä Nplateen liittyy?

Nplaten yleisimmät sivuvaikutukset (joita voi esiintyä useammalla kuin yhdellä potilaalla 10:stä) aikuisilla ovat päänsärky, nenän ja nielun infektiot sekä allergiset reaktiot (yliherkkyysoireet), kuten ihottuma, kutina ja nopeasti kehittyvä ihonalainen turvotus. Yleisimmät sivuvaikutukset lapsilla ovat nenän ja nielun infektiot, nenän vuotaminen, yskä, kuume, suu- ja kurkkukipu, mahakipu, ripuli, ihottuma ja mustelmat. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Nplaten ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Nplatea ei saa antaa potilaille, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) romiplostiimille, jollekin muulle lääkkeen valmistusaineelle tai *Escherichia colin* (eräs bakteerityyppi) tuottamille proteiineille.

Miksi Nplate on hyväksytty?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Nplaten hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Virasto totesi, että Nplate oli tehokas sekä potilailla, joiden perna oli poistettu, että potilailla, joiden pernaa ei ollut poistettu. Verihiutaleiden määrän kasvaminen oli pitkäkestoista ja kliinisesti merkitsevää kummassakin ryhmässä, vaikka hoito vaikuttaa vain oireisiin eikä paranna sairautta. Sen vuoksi pernan poiston mahdollisuutta on arvioitava säännöllisin väliajoin niillä potilailla, joiden pernaa ei ole poistettu.

Miten voidaan varmistaa Nplaten turvallinen ja tehokas käyttö?

Nplatea valmistava yhtiö toimittaa lääkäreille annostuslaskimen, jonka avulla he voivat laskea ne hyvinkin pienet määrät Nplatea, joita sen injektioimisessa toisinaan tarvitaan. Lääkäreille voidaan toimittaa myös lääkkeen antamiseen kotona tarvittava perehdytyspaketti. Se sisältää aineistoa, jonka avulla potilaat opetetaan pistämään Nplate itse, ja potilaille tarkoitettuja materiaaleja siitä, miten lääkkeestä valmistetaan injektiolius.

Suosituksiset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Nplaten käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Muuta tietoa Nplatesta

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Nplatea varten 4. helmikuuta 2009.

Nplatea koskeva EPAR-arviointilausunto kokonaisuudessaan on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisää tietoa Nplate-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Nplatea koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Tätä yhteenvedtoa on päivitetty viimeksi 12-2017.