



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ishod procjene primjene lijeka Revolade u liječenju teške aplastične anemije u djece

Europska agencija za lijekove dovršila je svoju procjenu zahtjeva za proširenje primjene lijeka Revolade na djecu s teškom aplastičnom anemijom (engl. *severe aplastic anemia*, SAA). Iako EMA nije preporučila tu primjenu, složila se da se relevantni podatci iz ispitivanja dostavljenog sa zahtjevom uključe u informacije o lijeku kako bi zdravstveni radnici imali pristup ažuriranim podacima o učincima lijeka Revolade u osoba sa SAA-om.

Što je Revolade i za što se koristi?

Revolade je lijek koji se primjenjuje za liječenje:

- primarne imunosne trombocitopenije (ITP), bolesti kod koje imunosni sustav bolesnika uništava trombocite (krvne stanice koje pomažu u zgrušavanju krvi). Bolesnici s ITP-om imaju mali broj trombocita u krvi (trombocitopeniju) i izloženi su riziku od krvarenja. Revolade se koristi u bolesnika u dobi od godinu dana i starijih u kojih primjena lijekova kao što su kortikosteroidi ili imunoglobulini nije bila djelotvorna. Lijek se primjenjuje u djece i adolescenata u kojih bolest traje najmanje šest mjeseci;
- trombocitopenije u odraslih s kroničnim (dugotrajnim) hepatitisom C, bolešću koju uzrokuje virus hepatitisa C. Lijek Revolade se primjenjuje kad je trombocitopenija preteška za terapiju na bazi interferona (vrsta liječenja hepatitisa C);
- stečene teške aplastične anemije (SAA, bolesti kod koje koštana srž ne proizvodi dovoljno krvnih stanica ili trombocita). Stečeno znači da bolest nije nasljedna. Lijek Revolade primjenjuje se u bolesnika čija se bolest ne kontrolira imunosupresivnom terapijom (lijekovima koji smanjuju imunosnu obranu organizma) i ne mogu primiti presađivanje krvotvornih matičnih stanica (kada se koštana srž bolesnika zamjenjuje matičnim stanicama darivatelja kako bi se stvorila nova koštana srž).

Lijek Revolade odobren je u Europskoj uniji (EU) od ožujka 2010. Sadrži djelatnu tvar eltrombopag i dostupan je u obliku tableta i praha za pripremu suspenzije (tekućine) koja se uzima kroz usta.

Dodatne informacije o trenutnim primjenama lijeka Revolade nalaze se na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

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



Kakvu je izmjenu tvrtka zatražila?

Tvrtka je podnijela zahtjev za proširenje primjene lijeka Revolade na djecu u dobi od dvije godine i stariju sa SAA-om čija se bolest ne kontrolira imunosupresivnim liječenjem ili se nakon liječenja vratila te koja ne mogu primiti presađivanje krvotvornih matičnih stanica.

Kako djeluje Revolade?

Prirodni hormon trombopoetin potiče stvaranje trombocita u tijelu vezivanjem na određene receptore (ciljna mjesta) u koštanoj srži i njihovim aktiviranjem. Kao i trombopoietin, djelatna tvar lijeka Revolade, eltrombopag, također se veže na receptore trombopoietina i stimulira ih. Time se povećava proizvodnja trombocita, poboljšava broj trombocita i smanjuje rizik od krvarenja. U nekih bolesnika sa SAA-om lijek Revolade može i povećati proizvodnju krvnih stanica. Očekuje se da će u djece u dobi od dvije godine i starije s teškom aplastičnom anemijom lijek Revolade djelovati na isti način kao i u odraslih s tim stanjem.

Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je predstavila rezultate glavnog ispitivanja koje je u tijeku i u kojem sudjeluje 51 dijete u dobi od dvije godine i starije sa SAA-om koje nije moglo primiti transplantaciju krvotvornih matičnih stanica. U tom ispitivanju 37 djece prethodno nije primalo terapiju, a 14 ih je primalo imunosupresivnu terapiju, ali njihova bolest nije bila pod kontrolom ili se vratila. Sva su djeca primala lijek Revolade u kombinaciji s imunosupresivnom terapijom 26 tjedana. Lijek nije uspoređen ni s jednim drugim liječenjem ili placebom (prividnim liječenjem). Glavni cilj ispitivanja bila je procjena ponašanja lijeka Revolade u djece. Sekundarni ciljevi uključivali su procjenu sigurnosti primjene i učinkovitosti lijeka.

Kakvi su zaključci EMA-e?

EMA je istaknula da, iako rezultati ispitivanja koje je dostavio podnositelj zahtjeva upućuju na to da djeca sa SAA-om mogu imati koristi od liječenja lijekom Revolade, samo 14 bolesnika u ispitivanju odgovara predviđenoj primjeni. Taj se broj smatrao premalim da bi se donijeli čvrsti zaključci o učinkovitosti i sigurnosti primjene lijeka Revolade u te djece.

EMA je stoga zaključila da sigurnost primjene i učinkovitost lijeka Revolade nisu u dovoljnoj mjeri utvrđeni u djece sa SAA-om te da lijek ne bi trebao biti odobren za upotrebu u tih bolesnika. Međutim, informacije o propisivanju lijeka Revolade ažurirat će se kako bi se uključili relevantni podatci kako bi zdravstveni radnici imali pristup ažuriranim podacima o učincima lijeka Revolade u djece sa SAA-om.

Ima li ovaj ishod posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima/programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da je ispitivanje lijeka Revolade u djece sa SAA-om nedavno dovršeno i da se u te djece ne provode druga ispitivanja.