

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

EPAR, sažetak za javnost

Nplate

romiplostim

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) lijeka Nplate. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek kako bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Nplate.

Praktične informacije o primjeni lijeka Nplate bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno obratiti se svom liječniku ili ljekarniku.

Što je Nplate i za što se koristi?

Nplate se primjenjuje u bolesnika starijih od jedne godine s kroničnom imunom trombocitopeničnom purpurom (ITP-om), bolesti kod koje imunosni sustav bolesnika uništava trombocite (tjelešca u krvi koje potiču grušanje). Bolesnici s ITP-om imaju mali broj trombocita i izloženi su riziku od krvarenja.

Nplate se primjenjuje u bolesnika u kojih ne djeluje terapija lijekovima poput kortikosterioda ili imunoglobulina. Nplate se može primjenjivati u bolesnika kojima je odstranjena slezena radi kontroliranja bolesti, kao i u bolesnika kojima slezena nije odstranjena. Slezena je organ iza želuca koji je uključen u proces uklanjanja trombocita iz krvi.

Budući da je broj bolesnika s ITP-om nizak, dotična se bolest smatra „rijetkom” te je Nplate dobio status „lijeka za rijetku bolest” od 27. svibnja 2005.

Nplate sadrži djelatnu tvar romiplostim.

Kako se Nplate koristi?

Nplate se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje mora nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju poremećaja krvi.

Nplate je prašak od kojeg se radi otopina za injekciju. Primjenjuje se jedanput tjedno kao potkožna injekcija. Početna doza ovisi o tjelesnoj težini bolesnika te se zatim prilagođava kako bi se broj trombocita zadržao na željenoj razini. Liječenje je potrebno prekinuti ako se broj trombocita ne poveća

dovoljno da bi se smanjio rizik od krvarenja nakon četiri tjedna terapije maksimalnom dozom lijeka Nplate. Odrasle osobe čije su koncentracije trombocita stabilne mogu sami ubrizgati lijek nakon što prođu odgovarajuću obuku.

Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

Kako djeluje Nplate?

Djelatna tvar lijeka Nplate, romiplostim, stimulira stvaranje trombocita. Uobičajeno je da hormon naziva "trombopoetin" u tijelu stimulira stvaranje trombocita u leđnoj moždini. Romiplostim je namijenjen vezivanju na iste tvari(receptore) kao i trombopoetin te ih stimulira. Oponašajući djelovanje trombopoetina, romiplostim stimulira stvaranje trombocita povećavajući time broj trombocita u krvi i smanjujući rizik od krvarenja.

Koje su koristi lijeka Nplate utvrđene u ispitivanjima?

U dvama glavnim ispitivanjima na odraslim osobama te u trećem ispitivanju na djeci utvrđena je djelotvornost lijeka Nplate u liječenju kroničnog ITP-a. Nplate je u svim ispitivanjima uspoređen s placebom (prividno liječenje). Bolesnici su liječeni 24 tjedna, a glavno mjerilo djelotvornosti bio je porast broja trombocita iznad praga od 50 milijuna trombocita po mililitru krvi tijekom najmanje šest od posljednjih osam tjedana liječenja. Bolesnici s brojem trombocita ispod 30 milijuna po mililitru izloženi su riziku od krvarenja, a normalan broj iznosi između 150 i 400 milijuna trombocita po mililitru.

Prvo ispitivanje obuhvatilo je 63 bolesnika čija bolest nije bila pod kontrolom unatoč tome što im je odstranjena slezena. Broj trombocita premašio je prag u 38 % bolesnika koji su primali Nplate (16 od 42), u usporedbi s nijednim od 21 bolesnika koji su primali placebo.

Drugo ispitivanje obuhvatilo je 62 bolesnika koji su prethodno liječeni od ITP-a (ali im nije odstranjena slezena). Broj trombocita premašio je prag u 61 % bolesnika koji su primali Nplate (25 od 41), u usporedbi s 5 % u bolesnika koji su primali placebo (1 od 21).

Ispitivanje na djeci obuhvatilo je 62 bolesnika u dobi od 1 do manje od 18 godina koji su prethodno liječeni od ITP-a (uključujući neke bolesnike kojima je odstranjena slezena). Broj trombocita premašio je prag u 52% bolesnika koji su primali Nplate (22 od 42), u usporedbi s 10% u bolesnika koji su primali placebo (2 od 20).

Dugoročna ispitivanja koja su obuhvatila više od 1000 bolesnika, od kojih su neki liječeni dulje od pet godina, potvrdila su da je Nplate zadržao djelotvornost u bolesnika kojima je odstranjena slezena kao i u bolesnika sa slezenom.

Koji su rizici povezani s lijekom Nplate?

Najčešće nuspojave lijeka Nplate (zabilježene u više od 1 na 10 bolesnika) uključuju glavobolju, infekcije nosa i grla, te alergijske reakcije (preosjetljivost) kao što su osip, svrbež i brzo oticanje tkiva ispod kože. Najčešće nuspojave u djece uključuju infekcije nosa i grla, hunjavicu, kašalj, vrućicu, bol u ustima i grlu, abdominalnu bol (bol u trbuhu), proljev, osip i pojavu modrica. Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Nplate potražite u uputi o lijeku.

Nplate se ne smije primjenjivati u osoba koje su preosjetljive (alergične) na romiplostim, bilo koji drugi sastojak ili na bjelančevine koje proizvodi *Escherichia coli* (bakterija).

Zašto je lijek Nplate odobren?

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Nplate nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučila izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Agencija je uočila je da je lijek Nplate djelotvoran u bolesnika kojima je odstranjena slezena, kao i u bolesnika kojima slezena nije odstranjena. Povećanje broja trombocita pokazalo se dugotrajnim i klinički relevantnim u objema skupinama, iako se terapijom samo kontroliraju simptomi, a ne može se izliječiti bolest. Stoga je u bolesnika sa slezenom potrebno povremeno procijeniti mogućnost odstranjivanja slezene.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Nplate?

Tvrtka koja stavlja na tržište lijek Nplate dostavit će liječnicima „kalkulator za doziranje” kako bi im pomogao pri izračunu katkad vrlo malih volumena lijeka Nplate koje je potrebno ubrizgati. Liječnici također trebaju dobiti komplet za obuku za kućno ubrizgavanje, koji uključuje materijale o obuci bolesnika koji će si sami ubrizgavati Nplate, kao i materijale za bolesnike o tome kako pripremiti lijek za ubrizgavanje.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Nplate također se nalaze u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Ostale informacije o lijeku Nplate

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje lijeka Nplate u promet koje je na snazi na prostoru Europske unije od 4. veljače 2009.

Cjeloviti EPAR za lijek Nplate nalazi se na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Više informacija o liječenju lijekom Nplate pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti o lijeku Nplate možete naći na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 12. 2017.