



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/762197/2010
EMA/H/C/000689

EPAR, sažetak za javnost

Siklos

hidroksikarbamid

Ovo je sažetak Europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije o lijeku (EPAR) za lijek Siklos. Objašnjava kako je Povjerenstvo za lijekove za primjenu kod ljudi (CHMP) ocijenilo lijek da bi donijelo svoje mišljenje u korist davanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet i svoje preporuke o uvjetima za primjenu lijeka Siklos.

Što je Siklos?

Siklos je lijek koji sadrži djelatnu tvar hidroksikarbamid. Dostupan je u obliku tableta (100 i 1.000 mg). Tablete od 1.000 mg imaju posebne razdjelne linije tako da se lako mogu podijeliti na četiri jednaka dijela.

Za što se Siklos koristi?

Siklos se primjenjuje u odraslih osoba, adolescenata i djece starije od dvije godine koji boluju od sindroma srpastih stanica, genetske bolesti koja uzrokuje krutost i ljepljivost crvenih krvnih stanica kao i promjenu oblika iz diska u krestu (poput srpa). Koristi se za sprječavanje rekurentnih, bolnih vazookluzivnih kriza koje nastupaju kada se krvne žile zablokiraju abnormalnim crvenim krvnim stanicama, čime se ograničava protok krvi do organa. Ove krize mogu uključivati akutni sindrom prsa, po život opasno stanje pri kojem bolesnik osjeća iznenadnu bol u prsima te ima groznicu, otežano disanje ili znakove tekućine u plućima na rendgenskoj snimci.

Budući da je broj bolesnika sa sindromom srpastih stanica mali, dotična se bolest smatra „rijetkom“, a Siklos se označava kao lijek siroč (lijek za liječenje rijetkih bolesti) od 9. srpnja 2003.

Ovaj se lijek izdaje isključivo na liječnički recept.

Kako se Siklos koristi?

Terapiju lijekom Siklos treba propisati liječnik s iskustvom u liječenju sindroma srpastih stanica.



Siklos se uzima jednom dnevno, po mogućnosti ujutro prije doručka. Početna doza najčešće iznosi 15 mg po kilogramu tjelesne težine, uz primjenu najprimjerenije jačine tableta (100 ili 1.000 mg) kako bi se pripremila doza, pri čemu se tableta od 1.000 mg može razlomiti na četvrtine (250 mg) ako je potrebno. Doza se prilagođava ovisno o odgovoru na liječenje, pri čemu uobičajena doza iznosi između 15 i 30 mg po kilogramu tjelesne težine po danu. Doze do 35 mg po kilogramu tjelesne težine po danu mogu se primjenjivati u iznimnim slučajevima, te ukoliko se krv bolesnika prati kako bi se uočile nuspojave. Bolesnici koji ne reagiraju na ovu dozu ili koji imaju nuspojave moraju prekinuti ili zaustaviti liječenje. Doza lijeka Siklos mora se smanjiti u bolesnika koji imaju blage ili umjerene probleme s bubrezima. Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

Kako djeluje Siklos?

Djelatna tvar u lijeku Siklos, hidroksikarbamid, blokira rast i reprodukciju pojedinih stanica, poput stanica krvi. Iako nije u potpunosti jasno kako lijek točno djeluje na ovu bolest, hidroksikarbamid može smanjiti broj stanica koje kruže u krvi te spriječiti promjenu oblika crvenih krvnih stanica u bolesnika sa sindromom srpastih stanica. To smanjuje rizik od blokade krvnih žila.

Hidroksikarbamid, koji je bio poznat pod nazivom hidroksiureja, dostupan je u Europskoj uniji (EU) već nekoliko desetljeća za liječenje drugih bolesti, uključujući i pojedine tipove raka.

Kako je Siklos ispitivan?

Budući da je hidroksikarbamid dobro poznata tvar koja se već koristi u drugim lijekovima, tvrtka je upotrijebila informacije iz znanstvene literature kao bi podržala primjenu lijeka Siklos u odraslih osoba i djece oboljelih od sindroma srpastih stanica. Posebice su dostavili dokaz o djelotvornosti lijeka Siklos iz 11 objavljenih ispitivanja koja su obuhvatila 378 djece te iz tri nacionalna registra informacije o 155 djece oboljele od sindroma srpastih stanica koji su liječeni lijekom Siklos u razdoblju do sedam godina. Također su dostavili dokaze iz jednog ispitivanja u 299 odraslih osoba, u kojih je djelovanje lijeka Siklos uspoređeno s djelovanjem placeba (prividnog liječenja), kao i rezultate drugih ispitivanja koja su obuhvatila 430 odraslih osoba i jedan nacionalan registar informacija o 123 odrasle osobe liječene lijekom Siklos. Ispitivanja su usporedila broj vazookluzivnih kriza prije i nakon liječenja lijekom Siklos, koje su definirane bolnim epizodama koje su uključivale ruke, noge, abdomen, leđa ili prsa.

Koje su koristi lijeka Siklos dokazane u ispitivanjima?

Bolesnici su imali manje vazookluzivnih kriza prilikom liječenja lijekom Siklos nego prije liječenja, pri čemu je učestalost pala između 66% i 80% u djece i odraslih. Broj slučajeva s akutnim sindromom prsa smanjio se također za 25 do 33%. Zabilježen je također i manji broj prijema u bolnicu, te kraći boravak u bolnici. Djelovanje se zadržalo i do sedam godina. U ispitivanju u kojem je uspoređen lijek Siklos s placebom u odraslih osoba, zabilježen je manji broj vazookluzivnih kriza u bolesnika koji su uzimali lijek Siklos (2,5 krize na godinu) u odnosu na one koji su uzimali placebo (4,5 krize na godinu).

Koji su rizici povezani s lijekom Siklos?

Najčešće nuspojave lijeka Siklos (kod više od 1 na 10 osoba) su supresija koštane srži, što uzrokuje neutropeniju (niske razine neutrofila, tipa bijelih krvnih stanica), retikulokitopeniju (niske razine retikulokita, tipa nezrelih crvenih krvnih stanica) i makrokitozu (povećanje crvenih krvnih stanica). U bolesnika koji uzimaju lijek Siklos potrebno je provesti krvne pretrage prije i redovito nakon liječenja kako bi se provjerio njihov broj krvnih stanica te se također pratilo stanje njihovih bubrega i jetre. Broj krvnih stanica najčešće se vraća u normalu u roku od dva tjedna nakon prestanka liječenja lijekom Siklos. U muškaraca liječenih lijekom Siklos vrlo se često mogla uočiti reverzibilna oligospermija ili

azoospermija (smanjeni broj ili izostanak stvaranja zdrave sperme). Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Siklos potražite u uputi o lijeku.

Siklos se ne smije primjenjivati u osoba koje imaju ozbiljne problem s bubrezima ili jetrom, odnosno koji imaju opasno nizak broj krvnih stanica. Prilikom uzimanja lijeka Siklos, dojenje se mora prekinuti. Potpuni popis ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Siklos odobren?

CHMP je odlučio da koristi od lijeka Siklos nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

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

Pripremljen je plan upravljanja rizikom kako bi se osigurala što sigurnija primjena lijeka Siklos. Na temelju tog plana u sažetak opisa svojstava lijeka kao i u uputu o lijeku za lijek Siklos uključene su sigurnosne informacije, uključujući odgovarajuće mjere opreza kojih se zdravstveni djelatnici i bolesnici trebaju pridržavati.

Ostale informacije o lijeku Siklos

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje za lijek Siklos vrijedi na prostoru Europske unije od 29. lipnja 2007.

Sažetak mišljenja Povjerenstva za lijekove za rijetke i teške bolesti o lijeku Siklos možete naći na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Cjelovito Europsko javno izvješće o ocjeni dokumentacije o lijeku (EPAR) za lijek Siklos nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Više informacija o terapiji lijekom Siklos pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak je posljednji put ažuriran: 03.2014.