



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Revolade gyermekeknél előforduló súlyos aplasztikus vérszegénység kezelésében történő alkalmazására vonatkozó értékelés eredménye

Az Európai Gyógyszerügynökség véglegesítette a Revolade alkalmazásának a súlyos aplasztikus anémiában (SAA) szenvedő gyermekekre történő kiterjesztése iránti kérelem értékelését. Bár az EMA nem javasolta ezt a felhasználást, egyetértett azzal, hogy a kérelemmel együtt benyújtott vizsgálat releváns adatait befoglalják a gyógyszer kísérőirataiba annak érdekében, hogy az egészségügyi szakemberek hozzáférjenek a Revolade SAA-ban szenvedő betegekre gyakorolt hatásaira vonatkozó naprakész adatokhoz.

Milyen típusú gyógyszer a Revolade és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Revolade-ot az alábbi betegségek kezelésére alkalmazzák:

- Primer immun trombocitopénia (ITP). Az ebben a betegségben szenvedő betegek immunrendszere elpusztítja a vérlemezkéket (a vérnek az alvadást elősegítő összetevőit). Az ITP-ben szenvedő betegek vérlemezkesszáma alacsony (trombocitopénia), ezért fennáll náluk a vérzés kockázata. A Revolade-ot olyan, 1 éves és annál idősebb betegeknek alkalmazzák, akiknél a kortikoszteroidokkal vagy immunglobulinokkal végzett kezelés nem volt hatásos. Gyermekeknél és serdülőknél a gyógyszert akkor alkalmazzák, ha már legalább 6 hónapja fennáll náluk a betegség.
- Trombocitopénia krónikus (hosszan tartó) hepatitisz-C-ben (a hepatitisz-C vírus által okozott májbetegségben) szenvedő felnőtteknél. A Revolade-ot akkor alkalmazzák, ha a trombocitopénia túl súlyos ahhoz, hogy az interferon-alapú terápiát (a hepatitisz-C kezelésének egy fajtája) el lehessen végezni.
- Szerzett SAA (olyan betegség, amelynek során a csontvelő nem termel elég vérsejtet vagy vérlemezkét). A szerzett azt jelenti, hogy a betegség nem örökletes. A Revolade-t azoknál a betegeknek alkalmazzák, akiknek a betegsége immunszuppresszív kezeléssel (olyan gyógyszerek, amelyek csökkentik a szervezet immunvédekezését) nem kontrollálható, és akik nem részesülhetnek vérképzőőssejt-transzplantációban (amikor a beteg csontvelőjét egy donortól származó őssejtekkel helyettesítik, hogy új csontvelőt alkossanak).

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



A Revolade 2010 márciusa óta engedélyezett az EU-ban. A gyógyszer hatóanyaga az eltrombopag, és tabletta, valamint szájon át alkalmazandó szuszpenzió (folyadék) elkészítésére szolgáló por formájában kapható.

A Revolade jelenlegi alkalmazására vonatkozó további információk az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

Milyen módosítás iránti kérelmet nyújtott be a vállalat?

A vállalat kérelmezte, hogy a Revolade alkalmazását kiterjesszék az SAA-ban szenvedő, 2 éves és idősebb gyermekekre, akiknek a betegsége nem kontrollálható immunszuppresszív kezeléssel, vagy kiújult az immunszuppresszív kezelés után, és akik nem kaphatnak vérképző őssejt-átültetést.

Hogyan fejti ki hatását a Revolade?

A szervezetben található, trombopoietinnek nevezett természetes hormon a csontvelőben lévő bizonyos receptorokhoz (célpontokhoz) kötődve és azokat aktiválva serkenti a vérlemezkék termelődését. A Revolade hatóanyagához, a trombopoietinhez hasonlóan az eltrombopag is a trombopoietin receptorokhoz kötődik, és serkenti azok működését. Ez fokozza a vérlemezkék termelődését, javítja a vérlemezkék számát, és csökkenti a vérzés kockázatát. Egyes SAA-ban szenvedő betegeknél a Revolade növelheti a vörsejttermelést is. A súlyos aplasztikus anémiában szenvedő, 2 éves és idősebb gyermekeknél a Revolade várhatóan ugyanúgy fejti ki hatását, mint az ebben a betegségben szenvedő felnőtteknél.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy folyamatban lévő fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 51, 2 éves és idősebb, SAA-ban szenvedő gyermek vett részt, akik nem kaphattak vérképzőőssejt-átültetést. Ebben a vizsgálatban 37 gyermek nem részesült korábbi kezelésben, 14 gyermek pedig immunszuppresszív kezelésben részesült, azonban a betegségük nem volt kontrollált, illetve kiújult. Minden gyermek immunszuppresszív kezeléssel kombinációban Revolade-ot kapott 26 héten keresztül. A gyógyszert nem hasonlították össze más kezeléssel vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés). A vizsgálat fő célja annak értékelése volt, hogy a Revolade hogyan fejti ki hatását a gyermekeknél. A másodlagos célok közé tartozott a gyógyszer biztonságosságának és hatásosságának értékelése.

Milyen következtetéseket vont le az EMA?

Az EMA megjegyezte, hogy bár a kérelmező által benyújtott vizsgálati eredmények arra utalnak, hogy az SAA-ban szenvedő gyermekek számára előnyös lehet a Revolade-kezelés, a vizsgálatban csupán 14 beteg felelt meg a tervezett alkalmazásnak. Ez a szám túl alacsonynak bizonyult ahhoz, hogy határozott következtetéseket lehessen levonni a Revolade hatékonyságáról és biztonságosságáról ezeknél a gyermekeknél.

Az EMA ezért arra a következtetésre jutott, hogy a Revolade biztonságosságát és hatásosságát nem igazolták megfelelően az SAA-ban szenvedő gyermekeknél, és a gyógyszer nem engedélyezhető ezeknél a betegeknél. Mindazonáltal a Revolade felírására vonatkozó információkat frissíteni fogják, hogy releváns adatokat tartalmazzanak, így az egészségügyi szakemberek hozzáférjenek a Revolade SAA-ban szenvedő gyermekekre gyakorolt hatásaival kapcsolatos legfrissebb adatokhoz.

Érinti-e ez az eredmény a klinikai vizsgálatokban/az engedélyezés előtti alkalmazási programokban részt vevő betegeket?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a Revolade SAA-ban szenvedő gyermekekkel végzett vizsgálata a közelmúltban lezárult, és ezeknél a gyermekeknél nincs folyamatban más vizsgálat.