

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Nplate

romiplosztim

Ez a dokumentum az Nplate-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak az Nplate alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben az Nplate alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú készítmény az Nplate és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Nplate-et hosszan tartó immun trombocitopéniás purpurában (ITP) szenvedő 1 évesnél idősebb betegeknek alkalmazzák; e betegség esetén a beteg immunrendszere elpusztítja a vérlemezkéket (a vér azon összetevőit, amelyek segítik annak alvadását). Az ITP-ben szenvedő betegek vérlemezkeszáma alacsony, és fennáll náluk a vérzés kockázata.

Az Nplate alkalmazása akkor javasolt, ha a kortikoszteroid vagy immunglobulin gyógyszerekkel történő kezelés sikertelen volt. Az Nplate alkalmazható azon betegeknek, akik lépetávoltításon estek át a betegség kezelése céljából, illetve azoknál is akiknek még van lépe. A lép, a gyomor mögött elhelyezkedő szerv, mely részt vesz a vérlemezkék vérből történő eltávolításában.

Mivel az ITP-ben szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért az Nplate-et 2005. május 27-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

Az Nplate hatóanyagként romiplosztimot tartalmaz.

Hogyan kell alkalmazni az Nplate-et?

Az Nplate csak receptre kapható, és a kezelést a vérzészavarok kezelésében jártas orvosnak kell felügyelnie.

Az Nplate oldatos injekció készítésére szolgáló por. Bőr alá adott injekcióként, hetente egyszer alkalmazzák. A kezdő adag a beteg testtömegétől függ, majd a vérlemezkeszámot a megcélzott szinten tartó dózist állítanak be. A vérzési kockázat csökkentése érdekében a kezelést fel kell függeszteni, ha a vérlemezkeszám nem emelkedik eléggé 4 hétig tartó, maximális dózisú Nplate kezelést követően. Azok a felnőttek, akiknek a vérlemezkeszáma stabil, megfelelő oktatást követően önmaguknak is beadhatják a gyógyszert.

További információ a használati utasításban található.

Hogyan fejti ki hatását az Nplate?

Az Nplate hatóanyaga, a romiplosztim, a vérlemezkek termelődését stimulálja. Normál esetben a szervezetben a trombopoietinnek nevezett hormon serkenti a vérlemezkek termelődését a csontvelőben. A romiplosztimot úgy alakították ki, hogy a trombopoietinével megegyező célpontokhoz (receptorok) kötődjön és serkentse azokat. A trombopoietin működésének utánzásával a romiplosztim serkenti a vérlemezkek termelődését, ezáltal növeli a vérlemezkek számát és csökkenti a vérzés kockázatát.

Milyen előnyei voltak az Nplate alkalmazásának a vizsgálatok során?

Két, felnőttekkel elvégzett fő vizsgálat, és egy harmadik, gyerekekkel elvégzett vizsgálat során az Nplate hatékonynak bizonyult a hosszan tartó ITP kezelésében. A vizsgálatokban az Nplate-et placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze. A betegeket 24 hétig kezelték és a hatékonyság fő mértéke a vérlemezkeszám 50 millió vérlemezke/ml vér küszöbértéket meghaladó emelkedése volt, a kezelés utolsó 8 hetéből legalább 6 héten keresztül. A 30 millió/ml alatti vérlemezkeszám növeli a betegek vérzési kockázatát, míg a normál vérlemezkeszám 150-400 millió/ml.

Az első vizsgálatban 63 olyan beteg vett részt, akik a lépeltávolításon túl egyéb kezelést nem kaptak. A vérlemezkeszám emelkedése az Nplate-tel kezelt betegek 38%-ánál haladta meg a küszöbértéket (42 betegből 16), ezzel szemben a 21 placebóval kezelt betegből egynél sem.

A második vizsgálatban 62, korábban már az ITP miatt kezelésben részesült beteg vett részt (de náluk nem történt lépeltávolítás). A vérlemezkeszám emelkedése az Nplate-tel kezelt betegek 61%-ánál haladta meg a küszöbértéket (41 betegből 25), szemben a placebó kezelés során tapasztalt 5%-kal (21 betegből 1).

A gyerekekkel elvégzett vizsgálat 62, 1 és 18 év közötti, korábban az ITP miatt kezelésben részesült beteget foglalt magába (beleértve néhány olyan beteget, aki lépeltávolításon esett át). A vérlemezkeszám emelkedése az Nplate-tel kezelt betegek 52%-ánál haladta meg a küszöbértéket (42 betegből 22), szemben a placebó kezelés során tapasztalt 10%-kal (20 betegből 2).

A több, mint 1000 beteget magába foglaló, hosszú távú vizsgálatok (melyekben a betegek egy része több, mint 5 éves kezelésben részesült), igazolták, hogy az Nplate mind a lépeltávolításon átesett, mind a léppel még rendelkező betegnél megtartotta a hatékonyságát.

Milyen kockázatokkal jár az Nplate alkalmazása?

Az Nplate kezelés során tapasztalt leggyakoribb mellékhatás felnőtteknél (10 beteg közül több, mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, az orr-és torokfertőzés és allergiás (hiperszenzitivitás) reakció, mint például a bőrkiütés, viszketés és a bőr alatti hirtelen duzzanat. A gyerekeknél tapasztalt leggyakoribb mellékhatás az orr-és a torokfertőzés, orrfolyás, köhögés, láz, száj-és torokfájás, hasi fájdalom,

hasmenés, bőrküítés és horzsolás. Az Nplate alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Nplate nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiások) a romiplosztimmal, a készítmény bármely más összetevőjével vagy az Escherichia coli (egy baktérium) által előállított fehérjékkel szemben.

Miért engedélyezték az Nplate forgalomba hozatalát?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Nplate alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Az ügynökség megállapította, hogy az Nplate hatásossága mind a lépeltávolításon átesett betegekénél, mind pedig a léppel még rendelkező betegekénél bizonyítást nyert. A vérlemezkeszám növekedése tartósan fennállt és klinikailag releváns volt minden csoportban, habár a kezelés csak a tüneteket befolyásolja és nem gyógyítja meg a betegséget. Ezért, a léppel még rendelkező betegekénél a lépeltávolítás lehetőségét időről-időre értékelni kell.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Nplate biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Nplate-et gyártó vállalat egy dóziskalkulátorral látja el az orvosokat, amely segíti őket az Nplate – olykor igen kis mennyiségű – beinjekciózandó adagjainak kiszámításában. Az orvosok az otthoni beadásra vonatkozó betanító csomagot is kaphatnak, amely az Nplate-tel önmagukat beinjekciózó betegek megtanítására vonatkozó anyagokat, és a betegek részére a gyógyszer injekciózásra való előkészítésére vonatkozó anyagokat tartalmaz.

Az Nplate biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Nplate-tel kapcsolatos egyéb információ

2009. február 4-én az Európai Bizottság az Nplate-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

Az Nplate-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Amennyiben az Nplate-tel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Nplate-re vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 12-2017.