

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Siklos

hidroxi-karbamid

Ez a dokumentum a Siklos-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Siklos alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Siklos?

A Siklos egy hidroxi-karbamid nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Tabletta (100 és 1 000 mg) formájában kapható. Az 1000 mg-os tablettán speciális törővonal található, hogy könnyen négy egyenlő részre lehessen osztani.

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Siklos?

A Siklos-t felnőtteknél, serdülőknél és két évnél idősebb gyermekeknél alkalmazzák a sarlósejtes szindróma, egy örökletes betegség kezelésére, amely esetében a vörösvérsejtek rugalmatlanná és ragadóssá válnak, és formájuk korong alakúról sarló alakúra változik. Ismétlődő, fájdalmas vazo-okklúzív krízisek megelőzésére alkalmazzák, amelyek akkor jelentkeznek, ha a rendellenes vörösvérsejtek elzárják a véreket, korlátozva ezzel az adott szerv vérellátását. Ezek felléphetnek akut mellkasi szindróma, egy életveszélyes állapot formájában, amely során a betegnek hirtelen mellkasi fájdalma, láza, nehézlégzése jelentkezik, illetve a röntgenfelvételen a tüdőben folyadék látható.

Mivel a sarlósejtes szindrómában szenvedő betegek száma alacsony, a betegség ritkának minősül, ezért a Siklos-t 2003. július 9-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Siklos-t?

A Siklos-kezelést a sarlósejtes szindróma kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie.



A Siklos-t naponta egyszer kell bevenni, lehetőleg a reggeli étkezés előtt. A kezdő adag általában testsúly-kilogrammonként 15 mg, amelyet a legmegfelelőbb hatáserősségű (100 vagy 1000 mg) tabletták alkalmazásával, szükség esetén az 1000 mg-os tablettát negyedekre (250 mg) osztásával kell összeállítani. A dózist a kezelésre adott válasznak megfelelően kell kiigazítani úgy, hogy a szokásos napi adag testsúly-kilogrammonként 15 és 30 mg között legyen. Kivételes esetekben maximum 35 mg testsúly-kilogrammonkénti napi dózis fogadható el, amennyiben a beteg vérében a mellékhatásokat figyelik. Olyan betegek esetében, akik nem reagálnak erre a dózissra, vagy mellékhatások jelentkeznek náluk, be kell fejezni, vagy fel kell függeszteni a kezelést. A Siklos adagját csökkenteni kell enyhe vagy közép súlyos vesebetegségben szenvedő betegeknél. További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejti ki hatását a Siklos?

A Siklos hatóanyaga, a hidroxikarbamid, gátolja bizonyos sejtek, pl. a vörsejtek növekedését és szaporodását. Bár ennél a betegségnél működésének pontos módja nem ismert, a hidroxikarbamid képes a vérben keringő sejtek számának csökkentésére, valamint képes megelőzni a vörösvérsejtek alakváltozását a sarlósejtes vérszegénységben szenvedő betegeknél. Ez csökkenti a vérerek elzáródásának kockázatát.

A hidroxikarbamid, amely korábban hidroxikarbamid néven volt ismert, az Európai Unióban (EU) már évtizedek óta forgalomban van egyéb betegségek kezelésére, beleértve bizonyos ráktípusokat is.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Siklost?

Mivel a hidroxikarbamid egy jól ismert anyag, amelyet más gyógyszerekben már alkalmaznak, a vállalat a tudományos irodalomból használt fel adatokat a Siklos sarlósejtes szindrómában szenvedő felnőtteknél és gyermekeknél történő alkalmazásának alátámasztására. A gyártó konkrétan 11 publikált vizsgálat adataival bizonyította a Siklos hatékonyságát, amely vizsgálatokban összesen 378 gyermek vett részt, valamint három nemzeti regiszter adatait is felhasználta, amelyekben 155 sarlósejtes szindrómában szenvedő gyermek szerepelt, akiket legfeljebb hét éven át kezeltek Siklos-szal. A gyártó egy 299 felnőtt bevonásával végzett vizsgálatról is nyújtott be tudományos bizonyítékot, ahol a Siklos hatásait placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) vetették össze, továbbá egyéb, 430 felnőtt bevonásával végzett más vizsgálatok eredményét és 123, Siklos-szal kezelt felnőtt betegre vonatkozó nemzeti adatbázis bejegyzését is átadta. A vizsgálatokban a vazo-okkluzív krízisek számát hasonlították össze a Siklos-kezelés előtt, illetve után. A krízist úgy határozták meg, mint a karok, a lábak, a has, a hát vagy a mellkas fájdalmával járó epizódot.

Milyen előnyei voltak a Siklos alkalmazásának a vizsgálatok során?

A betegeknél a Siklos-kezelés alatt ritkábban fordult elő vazo-okkluzív krízis, mint a kezelés előtt: gyakoriságuk felnőtteknél és gyermekeknél 66-80%-kal esett vissza. Az akut mellkasi szindróma gyakorisága is csökkent, mégpedig 25-33%-kal. Ezen túl kevesebb kórházi felvételre, és kevesebb kórházban töltött napra volt szükség. A gyógyszer hatásai akár hét éven keresztül is fennmaradtak. Abban a tanulmányban, amelyben a Siklos-t placebóval hasonlították össze felnőtteknél, a Siklos-t szedő betegeknél kevesebb vazo-okkluzív krízis (2,5 krízis/év) következett be, mint a placebót szedőknél (4,5 krízis/év).

Milyen kockázatokkal jár a Siklos alkalmazása?

A Siklos leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) a csontvelő-szuppresszió, amely neutropéniát (a fehérvérsejtek egyik típusának, a neutrofileknek az alacsony

szintje), retikulocitopéniát (a kifejeletlen vörösvérsejtek egyik típusának, a retikulocitáknak az alacsony szintje), valamint makrocitózist (a vörösvérsejtek megnagyobbodása) okoz. A Siklos-t szedő betegeknél a kezelés előtt, valamint a kezelés során rendszeresen vérvizsgálatot kell végezni a vérsejtek számának ellenőrzése, valamint vese- és májfunkciójuk megfigyelése céljából. A vérsejtek száma általában a Siklos-kezelés befejezése után két héten belül tér vissza a normális szintre. A Siklos-szal kezelt férfiaknál nagyon gyakran reverzibilis oligospermia, illetve azoospermia (egészséges spermiumok termelődésének csökkenése vagy megszűnése) is jelentkezett. A Siklos alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Siklos nem alkalmazható olyan személyeknél sem, akiknek súlyos vese- vagy májproblémájuk van, vagy vérsejtszámuk veszélyesen alacsony. A Siklos szedése alatt a szoptatás tilos. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Siklos forgalomba hozatalát?

A CHMP megállapította, hogy a Siklos alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Siklos biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Siklos lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Siklos-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket. A Siklos-t gyártó vállalat ezenkívül az orvosok és a betegek részére a gyógyszer biztonságossági adatait tartalmazó tájékoztató csomagokat biztosít.

A Siklos-szal kapcsolatos egyéb információ

2007. június 29-én az Európai Bizottság a Siklos-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Siklos-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán, a következő címen található: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

A Siklos-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Amennyiben a Siklos-szal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 03-2014.