



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Nplate

romiplostim

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Nplate. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Nplate.

Per informazioni pratiche sull'uso di Nplate i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

## Che cos'è e per che cosa si usa Nplate?

Nplate è usato in pazienti a partire da 1 anno di età affetti da porpora trombocitopenica autoimmune (PTI) cronica, una malattia in cui il sistema immunitario del paziente distrugge le piastrine (componenti del sangue che ne favoriscono la coagulazione). I pazienti affetti da PTI hanno una bassa conta piastrinica e sono a rischio di sanguinamento.

Nplate è usato nel caso in cui i trattamenti con medicinali quali corticosteroidi o immunoglobuline non siano risultati efficaci. Nplate può essere usato nei pazienti che sono stati sottoposti ad asportazione della milza al fine di controllare la malattia o in quelli che hanno conservato la milza. La milza, un organo situato dietro lo stomaco, partecipa alla rimozione delle piastrine dal sangue.

Poiché il numero di pazienti affetti da PTI è basso, la malattia è considerata "rara" e Nplate è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 27 maggio 2005.

Nplate contiene il principio attivo romiplostim.

## Come si usa Nplate?

Nplate può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere supervisionato da un medico esperto nel trattamento delle malattie del sangue.

Nplate è una polvere da ricostituire in una soluzione iniettabile. Viene somministrato una volta alla settimana mediante un'iniezione sottocutanea. La dose iniziale dipende dal peso del paziente e viene

---

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



poi aggiustata per mantenere la conta piastrinica ai livelli desiderati. Il trattamento deve essere interrotto se la conta piastrinica non raggiunge livelli abbastanza alti da ridurre il rischio di sanguinamento dopo 4 settimane di trattamento alla dose massima di Nplate. Gli adulti i cui livelli di piastrine si sono stabilizzati possono iniettarsi il medicinale da soli dopo essere stati adeguatamente formati.

Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

## **Come agisce Nplate?**

Il principio attivo di Nplate, romiplostim, stimola la produzione di piastrine. Nell'organismo, un ormone chiamato "trombopoietina" stimola solitamente la produzione di piastrine nel midollo osseo. Romiplostim è stato concepito per legarsi agli stessi bersagli (recettori) della trombopoietina e stimolarli. Emulando l'azione della trombopoietina, romiplostim stimola la produzione di piastrine, aumentandone pertanto la conta nel sangue e riducendo il rischio di sanguinamento.

## **Quali benefici di Nplate sono stati evidenziati negli studi?**

Due studi principali condotti su adulti e un terzo su bambini hanno riscontrato l'efficacia di Nplate per il trattamento di PTI cronica. Tutti gli studi hanno confrontato Nplate con placebo (un trattamento fittizio). I pazienti sono stati trattati per 24 settimane e il principale parametro dell'efficacia è stato un aumento della conta piastrinica oltre la soglia di 50 milioni di piastrine per millilitro di sangue per almeno 6 delle ultime 8 settimane di trattamento. Una conta piastrinica inferiore ai 30 milioni per millilitro mette i pazienti a rischio di sanguinamento, mentre la conta normale è compresa tra 150 e 400 milioni per millilitro.

Il primo studio è stato condotto su 63 pazienti la cui malattia non veniva controllata nonostante l'asportazione della milza. La conta piastrinica è salita al di sopra della soglia nel 38 % dei pazienti ai quali era stato somministrato Nplate (16 su 42) rispetto a nessuno dei 21 pazienti che avevano ricevuto il placebo.

Il secondo studio è stato condotto su 62 pazienti la cui PTI era stata trattata in precedenza (ma che non erano stati sottoposti ad asportazione della milza). La conta piastrinica è salita al di sopra della soglia nel 61 % dei pazienti ai quali era stato somministrato Nplate (25 su 41) rispetto al 5 % di coloro che avevano ricevuto il placebo (1 su 21).

Lo studio sui bambini è stato condotto su 62 pazienti di età compresa tra 1 anno e meno di 18 anni la cui PTI era stata trattata in precedenza (tra cui alcuni la cui milza era stata asportata). La conta piastrinica è salita al di sopra della soglia nel 52 % dei pazienti ai quali era stato somministrato Nplate (22 su 42) rispetto al 10 % di coloro che avevano ricevuto il placebo (2 su 20).

Studi a lungo termine condotti su oltre 1 000 pazienti, alcuni trattati per più di 5 anni, hanno confermato che Nplate è rimasto efficace sia nei pazienti la cui milza era stata asportata sia in coloro che l'avevano conservata.

## **Quali sono i rischi associati a Nplate?**

Gli effetti indesiderati più comuni di Nplate negli adulti (osservati in più di 1 paziente su 10) includono cefalea, infezioni di naso e gola e reazioni allergiche (ipersensibilità) quali eruzione cutanea, prurito e rapido gonfiore sottocutaneo. Gli effetti indesiderati più comuni nei bambini includono infezioni di naso e gola, rinorrea, tosse, febbre, dolore alla bocca e alla gola, dolore addominale (pancia), diarrea,

eruzione cutanea e contusione. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Nplate, vedere il foglio illustrativo.

Nplate non deve essere usato in soggetti che sono ipersensibili (allergici) a romiplostim, a uno qualsiasi degli altri componenti o alle proteine prodotte da *Escherichia coli* (un batterio).

### **Perché Nplate è approvato?**

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Nplate sono superiori ai rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

L'Agenzia ha osservato che Nplate è risultato efficace tanto nei pazienti cui era stata asportata la milza quanto in coloro che l'avevano conservata. Il miglioramento della conta piastrinica è stato duraturo e clinicamente rilevante in entrambi i gruppi, sebbene il trattamento gestisca solo i sintomi e non costituisca una cura. Pertanto, nei pazienti con la milza intatta, deve essere valutata periodicamente la possibilità di asportare la milza.

### **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Nplate?**

La ditta che commercializza Nplate fornirà ai medici un "calcolatore di dose" in modo da aiutarli a calcolare i volumi a volte molto piccoli di Nplate da iniettare. I medici possono anche ricevere un pacchetto di formazione per la somministrazione a domicilio, che include materiali per la formazione dei pazienti che si inietteranno da soli Nplate, nonché materiali per i pazienti sulla modalità di preparazione del medicinale per l'iniezione.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Nplate sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

### **Altre informazioni su Nplate**

Il 4 febbraio 2009 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Nplate, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Nplate consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Nplate, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Nplate è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 12-2017.