



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025 m. birželio 19 d.
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Sunkia aplazine anemija sergančių vaikų gydymo Revolade vertinimo rezultatai

Europos vaistų agentūra (EMA) užbaigė paraiškos išplėsti Revolade vartojimo indikacijų sąrašą, į jį įtraukiant sunkia aplazine anemija (SAA) sergančius vaikus, vertinimą. EMA nerekomendavo Revolade vartojimo pagal šią indikaciją, bet sutiko, kad atitinkami kartu su paraiška pateikto tyrimo duomenys būtų įtraukti į vaisto informacinius dokumentus, kad sveikatos priežiūros specialistai galėtų susipažinti su naujausiais duomenimis apie Revolade poveikį žmonėms, kuriems diagnozuota SAA.

Kas yra Revolade ir kam jis vartojamas?

Revolade – tai vaistas, kuriuo gydoma:

- pirminė imuninė trombocitopenija (PIT). Šia liga sergančio paciento imuninė sistema naikina trombocitus (kraujo daleles, padedančias kraujui krešėti). PIT sergančių pacientų kraujyje trombocitų kiekis yra sumažėjęs (tai vadinama trombocitopenija), todėl jiems kyla pavojus nukraujuoti. Revolade skiriamas ne jaunesniems nei 1 metų pacientams, kuriems gydymas tokiais vaistais, kaip kortikosteroidai arba imunoglobulinai, neveiksmingas. Vaikams ir paaugliams šis vaistas skiriamas, jei jie šia liga serga ne trumpiau kaip 6 mėnesius;
- trombocitopenija, diagnozuota suaugusiesiems, sergantiems lėtiniu (ilgalaikiu) hepatitu C (hepatito C viruso sukelta kepenų liga). Revolade skiriamas, kai trombocitopenija yra tokia sunki, kad negalima taikyti gydymo interferonu (tam tikro hepatito C gydymo būdo);
- įgyta SAA (liga, kuria sergant kaulų čiulpai negamina pakankamai kraujo ląstelių ar trombocitų). „Įgyta“ reiškia, kad liga nepaveldima. Revolade skiriamas suaugusiesiems, kurių ligos neįmanoma kontroliuoti imunosupresantais (vaistais, kurie susilpnina organizmo imuninę apsaugos sistemą) ir kuriems negalima persodinti hematopoetinių kamieninių ląstelių (kai paciento kaulų čiulpus pakeičiami donoro kaulų čiulpais, kad jie sudarytų naujus kaulų čiulpus).

Europos Sąjungoje Revolade įregistruotas nuo 2010 m. kovo mėn. Jo sudėtyje yra veikliosios medžiagos eltrombopago ir jis tiekiamas tablečių, taip pat miltelių, iš kurių ruošama geriamoji suspensija (skystis), forma.

Daugiau informacijos apie šiuo metu patvirtintas Revolade vartojimo indikacijas rasite agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

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



Dėl kokio pakeitimo bendrovė pateikė paraišką?

Bendrovė pateikė paraišką išplėsti Revolade vartojimo indikacijų sąrašą, kad į jį būtų galima įtraukti SAA sergančius 2 metų ir vyresnius vaikus, kurių ligos neišmanoma kontroliuoti imunosupresantais arba kurių liga atsinaujina po gydymo tokiais vaistais ir kuriems negalima persodinti hematopoetinių kamieninių ląstelių.

Kaip veikia Revolade?

Žmogaus organizme gaminamas natūralus hormonas trombopoetinas skatina trombocitų gamybą jungdamasis prie tam tikrų kaulų čiulpuose esančių receptorių (taikinių) ir juos suaktyvindamas. Kaip ir trombopoetinas, Revolade veiklioji medžiaga eltrombopagas taip pat jungiasi prie trombopoetino receptorių ir juos stimuliuoja. Dėl tokio poveikio pagaminama daugiau trombocitų, trombocitų skaičius padidėja ir sumažėja kraujavimo rizika. Kai kuriems SAA sergantiems pacientams Revolade taip pat gali paskatinti kraujo ląstelių gamybą. Manoma, kad Revolade poveikis 2 metų ir vyresniems vaikams, sergantiems sunkia aplazine anemija, turėtų būti toks pat, kaip ir šia liga sergantiems suaugusiesiems.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė šiuo metu dar neužbaigto pagrindinio tyrimo, į kurį įtrauktas 51 vaikas nuo 2 metų, kuriems diagnozuota SAA ir kuriems nebuvo galima persodinti hematopoetinių kamieninių ląstelių, rezultatus. Šiame tyrime dalyvaujantiems 37 vaikams anksčiau nebuvo taikytas šios ligos gydymas, o 14-ai vaikų buvo taikyta imunosupresinė terapija, bet jų ligos nepavyko suvaldyti arba liga atsinaujino. Visi vaikai 26 savaites vartojo Revolade ir imunosupresantus. Šis vaistas nebuvo lyginamas su jokia kitu vaistu ar placebo (preparatu be veikliosios medžiagos). Pagrindinis šio tyrimo tikslas buvo įvertinti, kaip Revolade veikia vaikų organizme. Antriniai tikslai buvo įvertinti vaisto saugumą ir veiksmingumą.

Kokios buvo EMA išvados?

EMA atkreipė dėmesį į tai, kad, nors pareiškėjo pateikti tyrimo rezultatai leidžia manyti, kad gydymas Revolade gali būti naudingas SAA sergantiems vaikams, tik 14 tyrime dalyvavusių pacientų atitiko numatytą vaisto vartojimo indikaciją. Manoma, kad šis skaičius yra pernelyg mažas, kad būtų galima padaryti tvirtas išvadas dėl Revolade veiksmingumo ir saugumo gydant šiuos vaikus.

Todėl EMA padarė išvadą, kad nepakanka duomenų Revolade saugumui ir veiksmingumui vaikams, kuriems diagnozuota SAA, įrodyti ir kad šis vaistas neturėtų būti registruojamas pagal šių pacientų gydymo indikaciją. Vis dėlto informaciją apie Revolade skyrimo tvarką bus atnaujinta, ją papildant atitinkamais duomenimis, kad sveikatos priežiūros specialistai galėtų susipažinti su naujausiais duomenimis apie Revolade poveikį SAA sergantiems vaikams.

Ar šie procedūros rezultatai turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose ir (arba) labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė informavo Agentūrą, kad Revolade tyrimas su SAA sergančiais vaikais neseniai baigtas ir kad su šiais vaikais neatliekami jokie kiti tyrimai.