

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

EPAR santrauka plačiamai visuomenei

Nplate

romiplostimas

Šis dokumentas yra Nplate Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatytų jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Nplate.

Praktinės informacijos apie Nplate vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Nplate ir kam jis vartojamas?

Nplate skiriamas ne jaunesniems kaip 1 metų amžiaus pacientams, kuriems diagnozuota ilgalaikė imuninė trombocitopeninė purpura (ITP) – liga, kuria sergant paciento imuninė sistema naikina trombocitus (kraujo sudedamąsias dalis, kurios padeda kraujui krešėti). ITP sergančių pacientų kraujyje sumažėjęs trombocitų skaičius, todėl jiems kyla pavojus nukraujuoti.

Nplate skiriamas, kai gydymas tokiais vaistais, kaip kortikosteroidai ar imunoglobulinai, neveiksmingas. Nplate galima skirti tiems pacientams, kurių blužnis buvo pašalinta siekiant kontroliuoti ligą, ir tiems, kurių blužnis dar nepašalinta. Blužnis – tai už skrandžio esantis organas, kuris dalyvauja šalinant trombocitus iš kraujo.

Kadangi ITP sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta, ir 2005 m. gegužės 27 d. Nplate buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Nplate sudėtyje yra veikliosios medžiagos romiplostimo.

Kaip vartoti Nplate?

Nplate galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turėtų prižiūrėti kraujavimo sutrikimų gydymo patirties turintis gydytojas.

Nplate – tai milteliai, iš kurių ruošiamas injekcinis tirpalas. Šis vaistas kartą per savaitę švirkščiamas po oda. Pradinė dozė priklauso nuo paciento svorio, vėliau ji koreguojama, siekiant išlaikyti tikslinį

trombocitų skaičių. Jeigu po 4 gydymo didžiausia Nplate doze savaitinių trombocitų skaičius nepadidėja tiek, kad sumažėtų kraujavimo rizika, gydymą reikėtų nutraukti. Išmokyti, kaip tinkamai atlikti šią procedūrą, suaugusieji, kurių kraujyje trombocitų skaičius yra stabilus, gali patys susišvirkšti vaistą.

Daugiau informacijos pateikta pakuotės lapelyje.

Kaip veikia Nplate?

Veiklioji Nplate medžiaga romiplostimas skatina trombocitų gamybą. Paprastai organizme gaminamas hormonas trombopoetinas skatina trombocitų gamybą kaulų čiulpuose. Romiplostimas sumodeliuotas taip, kad jungtųsi prie tų pačių tikslinių struktūrų, prie kurių jungiasi trombopoetinas, ir jas stimuliuotų. Pamėgdžiodamas trombopoetino veikimą, romiplostimas skatina trombocitų gamybą, taip didindamas jų skaičių kraujyje ir mažindamas kraujavimo riziką.

Kokia Nplate nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus du pagrindinius tyrimus su suaugusiais ir trečią tyrimą su vaikais, nustatyta, kad Nplate yra veiksmingas gydant ilgalaikę ITP. Atliekant visus tyrimus, Nplate buvo lyginamas su placebo (netikru vaistu). Pacientai buvo gydomi 24 savaites, o pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo trombocitų skaičiaus padidėjimas iki daugiau nei 50 milijonų trombocitų mililitre kraujo bent 6 savaites iš paskutinių 8 gydymo savaitių. Kai trombocitų skaičius mažesnis nei 30 milijonų viename mililitre, pacientui kyla nukraujavimo rizika, o normalus trombocitų skaičius yra 150–400 milijonų viename mililitre.

Pirmame tyrime dalyvavo 63 pacientai, kurių liga nebuvo kontroliuojama, nepaisant to, kad jiems buvo pašalinta blužnis. Trombocitų skaičių virš nustatytos ribos pavyko padidinti 38 proc. (16 iš 42) pacientų, kurie vartojo Nplate, ir nė vienam iš 21 paciento, kurie vartojo placebo.

Antrame tyrime dalyvavo 62 pacientai, kurie nuo ITP buvo gydomi anksčiau (bet jų blužnis nebuvo pašalinta). Trombocitų skaičių virš nustatytos ribos pavyko padidinti 61 proc. (25 iš 41) pacientų, kurie vartojo Nplate, ir 5 proc. (1 iš 21) pacientų, kurie vartojo placebo.

Su vaikais atliktame tyrime dalyvavo 62 pacientai nuo 1 iki mažiau nei 18 metų, kurie nuo ITP buvo gydomi anksčiau (kai kuriems iš jų buvo pašalinta blužnis). Trombocitų skaičių virš nustatytos ribos pavyko padidinti 52 proc. (22 iš 42) pacientų, kurie vartojo Nplate, ir 10 proc. (2 iš 20) pacientų, kurie vartojo placebo.

Ilgalaikiai tyrimai, kuriuose dalyvavo per 1 000 pacientų (kai kurie iš jų buvo gydomi ilgiau nei 5 metus), patvirtino, kad Nplate išliko veiksmingas gydant tiek tuos pacientus, kurių blužnis buvo pašalinta, tiek tuos pacientus, kurių blužnis nebuvo pašalinta.

Kokia rizika susijusi su Nplate vartojimu?

Dažniausias Nplate šalutinis poveikis suaugusiems (pasireiškęs daugiau nei 1 pacientui iš 10) yra galvos skausmas, nosies ir gerklės infekcijos ir alerginės (padidėjusio jautrumo) reakcijos, kaip antai išbėrimas, niežėjimas ir staigus poodinis tinimas. Dažniausias šalutinis poveikis vaikams – nosies ir gerklės infekcijos, varvanti nosis, kosulys, karščiavimas, burnos ertmės ir gerklės skausmas, juosmens srities (pilvo) skausmas, viduriavimas, išbėrimas ir kraujosruvos. Išsamų visų šalutinių reiškinių, apie kuriuos pranešta gydant Nplate, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Nplate negalima vartoti esant padidėjusiam jautrumui (alergijai) romiplostimui, bet kuriai pagalbinei medžiagai arba bakterijos *Escherichia coli* gaminamiems baltymams.

Kodėl Nplate buvo patvirtintas?

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Nplate nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo registracijos pažymėjimą.

Agentūra atkreipė dėmesį į tai, kad Nplate yra veiksmingas gydant pacientus, kurių blužnis buvo pašalinta, taip pat pacientus, kurių blužnis nepašalinta. Trombocitų skaičiaus padidėjimas buvo ilgalaikis ir klinikiniu požiūriu svarbus abiem grupėms, nors šis vaistas neišgydo ligos, o tik palengvina simptomus. Todėl gydant pacientus, kurių blužnis nepašalinta, reikėtų periodiškai apsvarstyti galimybę pašalinti blužnį.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Nplate vartojimą?

Nplate prekiaujanti bendrovė aprūpins gydytojus vadinamosiomis dozės skaičiuoklėmis, kurios padės jiems apskaičiuoti kartais labai mažas Nplate dozes, kurias reikia sušvirkšti. Gydytojai taip pat gali gauti informacijos apie tai, kaip susišvirkšti vaistą namuose, mokomąjį paketą, kuriame bus medžiaga, susijusi su pacientų, kurie patys švirkšis Nplate, mokymą, taip pat pacientams skirta medžiaga apie tai, kaip paruošti vaistą susišvirkšti.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Nplate vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Nplate

Europos Komisija 2009 m. vasario 4 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Nplate registracijos pažymėjimą.

Išsamų Nplate EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Daugiau informacijos apie gydymą Nplate rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Nplate santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2017-12.