

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Nplate

romiplostims

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Nplate*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir vērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu to reģistrāciju Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Nplate* lietošanu.

Lai saņemtu praktisku informāciju par *Nplate* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsazinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Nplate* un kāpēc tās lieto?

Nplate tiek lietotas pacientiem no viena gada vecuma, kuriem ir ilgstoša imūna trombocitopēniskā purpura (ITP) — slimība, kuras gadījumā pacienta imūnsistēma iznīcina trombocītus (asins šūnas, kas palīdz asinīm sarecēt). Pacientiem ar ITP ir mazs trombocītu skaits un pastāv asiņošanas risks.

Nplate tiek lietotas, ja ārstēšana ar tādām zālēm kā kortikosteroīdi vai imūnglobulīni nav bijusi efektīva. *Nplate* var lietot pacientiem, kuriem slimības kontroles nolūkā ir izoperēta liesa, kā arī tādiem pacientiem, kuriem liesa nav izņemta. Liesa, kas atrodas aiz kuņģa, ir iesaistīta trombocītu izvadišanā no asinīm.

Tā kā ITP pacientu skaits ir mazs, slimību uzskata par retu, un *Nplate* 2005. gada 27. maijā tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Nplate satur aktīvo vielu romiplostimu.

Kā lieto *Nplate*?

Nplate var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ar tām ir jāuzrauga ārstam, kuram ir pieredze asins sastāva izmaiņu ārstēšanā.

Nplate ir pulveris, no kura pagatavo injekciju šķīdumu. Šīs zāles tiek ievadītas vienreiz nedēļā zemādas injekcijas veidā. Sākuļdeva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas. To pielāgo tā, lai trombocītu skaitu uzturētu mērķa līmenī. Ārstēšana ir jāpārtrauc, ja trombocītu skaits pēc 4 terapijas nedēļām,

lietojot *Nplate* maksimālo devu, nav pietiekami palielinājies, lai mazinātu asiņošanas risku. Pieaugušie, kuriem trombocītu skaits ir stabils, pēc atbilstošas apmācības drīkst injicēt šīs zāles paši.

Sīkāku informāciju skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kā *Nplate* darbojas?

Nplate aktīvā viela romiplostims stimulē trombocītu veidošanos. Organismā hormons, ko dēvē par "trombopoetīnu", parasti stimulē trombocītu veidošanos kaulu smadzenēs. Romiplostims ir izstrādāts, lai piesaistītos tām pašām mērķstruktūrām (receptoriem) kā trombopoetīns un tās stimulētu.

Darbodamies līdzīgi trombopoetīnam, romiplostims stimulē trombocītu veidošanos, tādējādi palielinot trombocītu skaitu un mazinot asiņošanas risku.

Kādas bija *Nplate* priekšrocības šajos pētījumos?

Divos pamatpētījumos pieaugušajiem un trešajā pētījumā bērniem konstatēja, ka ar *Nplate* var efektīvi ārstēt ilgstošu ITP. Visos pētījumos salīdzināja *Nplate* ar placebo (neīstu ārstēšanas līdzekli). Pacientus ārstēja 24 nedēļas, un galvenais efektivitātes rādītājs bija trombocītu skaita palielināšanās virs sliekšņa vērtības, kas ir 50 miljoni trombocītu mililitrā asiņu, vismaz 6 nedēļu laikā no pēdējām 8 ārstēšanas nedēļām. Ja trombocītu skaits ir mazāks par 30 miljoniem mililitrā, pacientiem ir asiņošanas risks, bet normāls skaits ir 150-400 miljoni mililitrā.

Pirmajā pētījumā iesaistīja 63 pacienti, kuriem slimība netika kontrolēta, kaut liesa bija izoperēta. Trombocītu skaits virs sliekšņa vērtības palielinājās 38 % pacientu, kuri saņēma *Nplate* (16 no 42), salīdzinot ar nevienu no 21 pacienta, kurš saņēma placebo.

Otrajā pētījumā iesaistīja 62 pacientus ar iepriekš ārstētu ITP (bet neizoperētu liesu). Trombocītu skaits virs sliekšņa vērtības palielinājās 61 % pacientu, kuri saņēma *Nplate* (25 no 41), salīdzinot ar 5 % pacientu, kuri saņēma placebo (1 no 21).

Pētījumā ar bērniem bija iesaistīti 62 pacienti vecumā no 1 līdz 18 gadiem ar iepriekš ārstētu ITP (tai skaitā daži, kuriem bija izoperēta liesa). Trombocītu skaits virs sliekšņa vērtības palielinājās 52% pacientu, kuri saņēma *Nplate* (22 no 42), salīdzinot ar 10% pacientu, kuri saņēma placebo (2 no 20).

Ilgtermiņa pētījumos, kuros bija iekļauti vairāk nekā 1 000 pacienti, no kuriem daži bija ārstēti ilgāk par 5 gadiem, apstiprinājās, ka *Nplate* aizvien bija iedarbīgas gan pacientiem ar izoperētu liesu, gan pacientiem, kuriem liesas operācija nav veikta.

Kāds risks pastāv, lietojot *Nplate*?

Visbiežākās *Nplate* blakusparādības pieaugušajiem (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 pacientiem) ir galvassāpes, deguna un rīkles infekcijas, kā arī alerģiskas (paaugstinātas jutības) reakcijas, piemēram, izsitumi, nieze un straujš zemādas pietūkums. Visbiežākās blakusparādības bērniem ir deguna un rīkles infekcijas, iesnas, klepus, drudzis, sāpes mutē un rīklē, sāpes vēderā, caureja, izsitumi un asinsizplūdumi. Pilnu visu ziņoto blakusparādību sarakstu, lietojot *Nplate*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Nplate nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret romiplostimu, kādu citu šo zāļu sastāvdaļu vai olbaltumvielām, ko sintezē *Escherichia coli* (baktērijas).

Kāpēc *Nplate* tika apstiprinātas?

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Nplate*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

Aģentūra ņēma vērā, ka *Nplate* bija iedarbīgas pacientiem ar izoperētu liesu, kā arī pacientiem, kuriem liesas operācija nebija veikta. Trombocītu skaita uzlabošanās saglabājās ilgstoši un bija klīniski nozīmīga abās grupās, lai gan ar ārstēšanu tikai kontrolē simptomus, nevis izārstē slimību. Tādēļ pacientiem, kuriem nav izoperēta liesa, periodiski jāizvērtē liesas izņemšanas iespēja.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Nplate* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Nplate*, nodrošinās ārstiem dozēšanas kalkulatoru, lai palīdzētu aprēķināt dažkārt ļoti nelielo injicējamo *Nplate* tilpumu. Ārsti var saņemt arī apmācības komplektu zāļu injicēšanai mājas apstākļos, kurā ietverti apmācībai nepieciešamie materiāli pacientiem, kuri paši sev injicē *Nplate*, un materiāli pacientiem par zāļu sagatavošanu injicēšanai.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Nplate* lietošanu.

Cita informācija par *Nplate*

Eiropas Komisija 2009. gada 4. februārī izsniedza *Nplate* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Nplate* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lai saņemtu sīkāku informāciju par ārstēšanu ar *Nplate*, izlasiet zāļu lietošanas instrukciju (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinieties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Nplate* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 12.2017.