



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19 ta' Ġunju 2025
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Eżitu tal-valutazzjoni dwar l-użu ta' Revolade fit-trattament ta' anemija aplastika severa fit-tfal

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ffinalizzat il-valutazzjoni tagħha ta' applikazzjoni biex jiġi estiż l-użu ta' Revolade biex jinkludi tfal b'anemija aplastika severa (severe aplastic anaemia, SAA). Għalkemm l-EMA ma rrakkomandatx dan l-użu, hija qablet li d-*data* rilevanti mill-istudju pprezentat mal-applikazzjoni għandha tiġi inkluża fl-informazzjoni dwar il-prodott tal-medicina sabiex il-professjonisti tal-kura tas-saħħa jkollhom aċċess għal *data* aġġornata dwar l-effetti ta' Revolade f'persuni b'SAA.

X'inhu Revolade u għal xiex jintuża?

Revolade huwa medicina li tintuża għat-trattament ta':

- tromboċitopenija immunitarja primarja, (primary immune thrombocytopenia – ITP), marda li fiha s-sistema immunitarja tal-pazjent tkisser il-pjastrini (komponenti fid-demmi li jgħinuh jagħqad). Il-pazjenti bl-ITP jkollhom għadd baxx ta' pjastrini fid-demmi (tromboċitopenija) u jkunu f'riskju ta' fsada. Revolade jintuża f'pazjenti mill-età ta' sena 'l fuq li fuqhom it-trattament b'medicini bħall-kortikosteroidi jew l-immunoglobulini ma jkunx haġem. Fit-tfal u fl-adolesxenti, il-medicina tintuża meta l-marda tkun ilha fuqhom mill-inqas sitt xhur;
- tromboċitopenija f'adulti b'epatite Ċ kronika (fit-tul), marda tal-fwied ikkawżata mill-virus tal-epatite Ċ. Revolade jintuża meta t-tromboċitopenija tkun severa wisq biex tippermetti terapija bbażata fuq l-interferon (tip ta' trattament għall-epatite Ċ);
- AAS akkwiziżta (marda li fiha l-mudullun ma jipproduċix biżżejjed ċelloli tad-demmi jew pjastrini). "Akkwiżita" tfisser li l-marda ma tintiritx. Revolade jintuża f'pazjenti li l-marda tagħhom ma tkunx ikkontrollata minn terapija immunosoppressiva (medicini li jbaxxu d-difiżi immunitarji tal-ġisem) u ma jistgħux jirċievu trapjant taċ-ċelloli staminali ematopojetici (fejn il-mudullun tal-pazjent jiġi ssostitwit b'ċelloli staminali minn donatur biex jiffurma mudullun ġdid).

Revolade ilu awtorizzat fl-UE minn Marzu 2010. Fih is-sustanza attiva eltrombopag u huwa disponibbli bħala pillolu u bħala trab li jiġi ppreparat f'sospensjoni (likwidu) li tinxtorob.

Aktar informazzjoni dwar l-użi attwali ta' Revolade tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.



Għal liema bidla kienet applikat il-kumpanija?

Il-kumpanija applikat biex testendi l-użu ta' Revolade għal tfal minn sentejn 'il fuq b'SAA li l-marda tagħhom mhijiex ikkontrollata minn, jew reġġet feġġet wara, trattament immunosoppressiv u li ma jistgħux jirċievu trapjant ta' ċelloli staminali ematopojetici.

Kif jaħdem Revolade?

Fil-ġisem, ormon naturali msejjaħ thrombopoietin jistimula l-produzzjoni ta' pjastrini billi jeħel ma' ċerti riċetturi (miri) fil-mudullun u jattivahom. Bħat-thrombopoietin, is-sustanza attiva f'Revolade, l-eltrombopag, teħel ukoll mar-riċetturi tat-thrombopoietin u tistimulahom. Dan iżid il-produzzjoni tal-pjastrini, itejjeb l-għadd tal-pjastrini u jnaqqas ir-riskju ta' fsada. F'xi pazjenti b'SAA, Revolade jista' jżid ukoll il-produzzjoni ta' ċelloli tad-dem. Fit-tfal minn sentejn 'il fuq b'anemija aplastika severa, Revolade huwa mistenni li jaħdem bl-istess mod kif jaħdem fl-adulti b'din il-kundizzjoni.

X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġa l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprezentat ir-riżultati minn studju ewlieni li għadu għaddej li jinvolvi 51 tifel u tifla minn sentejn 'il fuq b'SAA li ma setgħux jirċievu trapjant ta' ċelloli staminali ematopojetici. F'dan l-istudju, 37 tifel u tifla ma kinux ingħataw trattament qabel, u 14 kienu ngħataw terapija immunosoppressiva, iżda l-marda tagħhom ma ġietx ikkontrollata jew kienet reġġet feġġet. It-tfal kollha ngħataw Revolade flimkien ma' terapija immunosoppressiva għal 26 ġimgħa. Il-medicina ma tqabblet ma' ebda trattament ieħor jew placebo (trattament fint). L-istudju kellu l-oġettiv ewlieni li jivvaluta kif Revolade jaġixxi fit-tfal. L-oġettivi sekondarji kienu jinkludu l-valutazzjoni tas-sigurtà u l-effettività tal-medicina.

X'kienu l-konklużjonijiet tal-EMA?

L-EMA nnotat li, għalkemm ir-riżultati tal-istudju pprovduti mill-applikant jissuġġerixxu li t-tfal b'SAA jistgħu jibbenefikaw minn trattament b'Revolade, 14-il pazjent biss fl-istudju kienu idonei għall-użu maħsub. Dan in-numru kien ikkunsidrat żgħir wisq biex jinstiltu konklużjonijiet sodi dwar l-effettività u s-sigurtà ta' Revolade f'dawn it-tfal.

Għalhekk, l-EMA kkonkludiet li s-sigurtà u l-effettività ta' Revolade ma ġewx stabbiliti biżżejjed fit-tfal b'SAA, u li ma għandux jiġi awtorizzat f'dawn il-pazjenti. Madankollu, l-informazzjoni dwar il-preskrizzjoni għal Revolade se tiġi aġġornata biex tinkludi d-*data* rilevanti, sabiex il-professjonisti tal-kura tas-saħħa jkollhom aċċess għal *data* aġġornata dwar l-effetti tar-Revolade fit-tfal b'SAA.

Dan l-eżitu jaffettwa lill-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompassjoni?

Il-kumpanija infurmat lill-Aġenzija li l-istudju ta' Revolade fi tfal b'SAA tlesta dan l-aħħar, u li l-ebda studju ieħor ma għadu għaddej f'dawn it-tfal.