



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19 juni 2025
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Resultaat van de beoordeling van het gebruik van Revolade bij de behandeling van ernstige aplastische anemie bij kinderen

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft de beoordeling afgerond van een aanvraag om het gebruik van Revolade uit te breiden tot kinderen met ernstige aplastische anemie (SAA). Hoewel het Geneesmiddelenbureau dit gebruik niet heeft aanbevolen, heeft het ermee ingestemd dat relevante gegevens uit de bij de aanvraag overgelegde studie worden opgenomen in de productinformatie van het geneesmiddel, zodat zorgverleners toegang hebben tot actuele gegevens over de effecten van Revolade bij personen met SAA.

Wat is Revolade en wanneer wordt het voorgeschreven?

Revolade is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van:

- primaire idiopathische trombocytopenische purpura (ITP), een ziekte waarbij het afweersysteem van de patiënt de bloedplaatjes (bestanddelen in het bloed die bijdragen aan de bloedstolling) vernietigt. Patiënten met ITP hebben lage aantallen bloedplaatjes (trombocytopenie) en lopen het risico op bloedingen. Revolade wordt gebruikt bij patiënten vanaf de leeftijd van 1 jaar bij wie behandeling met geneesmiddelen zoals corticosteroïden of immunoglobulinen niet heeft gewerkt. Bij kinderen en adolescenten wordt het geneesmiddel gebruikt wanneer zij deze ziekte gedurende ten minste zes maanden hebben gehad;
- trombocytopenie bij volwassenen met chronische (langdurige) hepatitis C, een leverziekte die wordt veroorzaakt door het hepatitis C-virus. Revolade wordt gebruikt wanneer door de ernst van de trombocytopenie interferontherapie (een bepaalde behandeling voor hepatitis C) niet mogelijk is;
- verworven SAA (een ziekte waarbij het beenmerg onvoldoende bloedcellen of bloedplaatjes aanmaakt). 'Verworven' betekent dat de ziekte niet erfelijk is. Revolade wordt toegediend aan volwassenen wier aandoening niet beheerst kan worden door immuunsuppressieve behandelingen (geneesmiddelen die het afweersysteem van het lichaam onderdrukken) en die geen hematopoëtische bloedstamceltransplantatie kunnen ondergaan (waarbij het beenmerg van de patiënt wordt vervangen door stamcellen van een donor opdat nieuw beenmerg kan worden gevormd).

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



Revolade is sinds maart 2010 in de EU goedgekeurd. Het bevat de werkzame stof eltrombopag en is verkrijgbaar in de vorm van tabletten en als poeder ter bereiding van een suspensie (vloeistof) voor inname via de mond.

Meer informatie over het huidige gebruik van Revolade is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

Voor welke wijziging had het bedrijf een aanvraag ingediend?

Het bedrijf had een aanvraag ingediend om het gebruik van Revolade uit te breiden tot kinderen van 2 jaar en ouder met SAA bij wie de ziekte niet onder controle kan worden gebracht door, of is teruggekomen na, immuunsuppressieve behandelingen en die geen hematopoëtische bloedstamceltransplantatie kunnen ondergaan.

Hoe werkt Revolade?

In het lichaam stimuleert het natuurlijke hormoon trombopoëetine de aanmaak van bloedplaatjes door zich te hechten aan bepaalde receptoren (doelwitten) in het beenmerg en deze te activeren. Net als trombopoëetine hecht de werkzame stof in Revolade, eltrombopag, zich aan trombopoëtinereceptoren en stimuleert het deze. Dit voert de aanmaak van bloedplaatjes op, verbetert het aantal bloedplaatjes en vermindert het risico op bloedingen. Bij sommige SAA-patiënten kan Revolade ook de aanmaak van bloedcellen verhogen. Bij kinderen van 2 jaar en ouder met ernstige aplastische anemie zal Revolade naar verwachting op dezelfde manier werken als bij volwassenen met deze aandoening.

Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend ter onderbouwing van de aanvraag?

Het bedrijf heeft de resultaten ingediend van een lopende hoofdstudie bij 51 kinderen van 2 jaar en ouder met SAA die geen hematopoëtische stamceltransplantatie konden ondergaan. In deze studie waren 37 kinderen niet eerder behandeld en hadden 14 kinderen immuunsuppressieve behandelingen gekregen, waarbij hun ziekte echter niet onder controle kon worden gebracht of nadien was teruggekeerd. Alle kinderen kregen gedurende 26 weken Revolade in combinatie met een immuunsuppressieve behandeling. Het geneesmiddel werd niet vergeleken met andere behandelingen of placebo (een schijnbehandeling). Het hoofddoel van de studie was te beoordelen hoe Revolade zich bij kinderen gedraagt. Secundaire doelstellingen waren onder meer het beoordelen van de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel.

Wat waren de conclusies van het EMA?

Het Geneesmiddelenbureau merkte op dat, hoewel de resultaten van de door de aanvrager ingediende studie erop wijzen dat kinderen met SAA baat kunnen hebben bij behandeling met Revolade, slechts 14 patiënten in de studie voldeden aan het beoogde gebruik. Dit aantal werd te klein geacht om duidelijke conclusies te kunnen trekken over de werkzaamheid en veiligheid van Revolade bij deze kinderen.

Het Geneesmiddelenbureau concludeerde derhalve dat de veiligheid en werkzaamheid van Revolade niet voldoende zijn vastgesteld bij kinderen met SAA, en dat het middel voor gebruik bij deze patiënten niet mag worden goedgekeurd. Niettemin zal de samenvatting van de productkenmerken voor Revolade worden bijgewerkt met relevante gegevens, zodat zorgverleners toegang hebben tot actuele gegevens over de effecten van Revolade bij kinderen met SAA.

Heeft deze uitkomst gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

Het bedrijf heeft het Geneesmiddelenbureau laten weten dat de studie naar Revolade bij kinderen met SAA onlangs is afgerond en dat er bij deze kinderen geen andere studies lopen.