

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Nplate

romiplostim

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Nplate. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Nplate.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Nplate.

Wat is Nplate en wanneer wordt het voorgeschreven?

Nplate wordt gebruikt bij patiënten vanaf 1 jaar oud met chronische immuuntrombocytopenische purpura (ITP), een ziekte waarbij het afweersysteem van de patiënt bloedplaatjes (bestanddelen in het bloed die bijdragen aan de bloedstolling) afbreekt. Patiënten met ITP hebben lage aantallen bloedplaatjes en lopen een risico op bloedingen.

Nplate wordt gebruikt wanneer behandeling met geneesmiddelen zoals corticosteroïden of immunoglobulinen niet heeft gewerkt. Nplate kan worden gebruikt bij patiënten van wie de milt is verwijderd om de ziekte onder controle te krijgen en bij patiënten die hun milt nog hebben. De milt, een orgaan achter de maag, is betrokken bij het verwijderen van bloedplaatjes uit het bloed.

Aangezien het aantal patiënten met ITP klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Nplate op 27 mei 2005 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Nplate bevat de werkzame stof romiplostim.

Hoe wordt Nplate gebruikt?

Nplate is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet plaatsvinden onder toezicht van een arts met ervaring in de behandeling van stollingsstoornissen.

Nplate is een poeder waarvan een oplossing voor injectie wordt bereid. Het middel wordt eenmaal per week als een injectie onder de huid toegediend. De aanvangsdosis is afhankelijk van het lichaamsgewicht van de patiënt en wordt vervolgens aangepast om de bloedplaatjesaantallen op het streefniveau te houden. De behandeling dient te worden stopgezet als het bloedplaatjesaantal na vier weken behandeling met de maximale dosis Nplate niet genoeg is gestegen om het risico op bloedingen te verminderen. Volwassenen van wie het bloedplaatjesgehalte stabiel is, mogen het geneesmiddel zelf injecteren nadat ze hierin naar behoren zijn getraind.

Zie de bijsluiter voor meer informatie.

Hoe werkt Nplate?

De werkzame stof in Nplate, romiplostim, stimuleert de productie van bloedplaatjes. In het lichaam bevordert het hormoon trombopoëetine normaal gesproken de aanmaak van bloedplaatjes in het beenmerg. Romiplostim is ontworpen om zich aan dezelfde doelwitten (receptoren) als trombopoëetine te hechten en deze te stimuleren. Door de werking van trombopoëetine na te bootsen, stimuleert romiplostim de aanmaak van bloedplaatjes, waardoor de bloedplaatjesaantallen stijgen en het risico op bloedingen wordt verminderd.

Welke voordelen bleek Nplate tijdens de studies te hebben?

In twee hoofdstudies bij volwassenen en een derde bij kinderen bleek Nplate effectief te zijn voor de behandeling van langdurige ITP. In alle studies werd Nplate vergeleken met een placebo (een schijnbehandeling). Patiënten werden gedurende 24 weken behandeld en de belangrijkste maatstaf voor de werkzaamheid was de stijging van het bloedplaatjesgehalte tot boven een drempelwaarde van 50 miljoen bloedplaatjes per milliliter bloed gedurende ten minste 6 van de laatste 8 weken van de behandeling. Een bloedplaatjesgehalte onder 30 miljoen per milliliter zorgt ervoor dat patiënten risico op bloedingen lopen, terwijl het normale aantal 150 tot 400 miljoen per milliliter is.

De eerste studie betrof 63 patiënten van wie de ziekte ondanks verwijdering van hun milt niet onder controle was. Het bloedplaatjesgehalte steeg tot boven de drempelwaarde bij 38% van de patiënten die Nplate kregen (16 van de 42) en bij geen van de 21 patiënten die een placebo kregen.

De tweede studie betrof 62 patiënten van wie de ITP eerder was behandeld (maar bij wie hun milt niet was verwijderd). Het bloedplaatjesgehalte steeg tot boven de drempelwaarde bij 61 % van de patiënten die Nplate kregen (25 van de 41) en bij 5 % van de patiënten die een placebo kregen (1 van de 21).

De studie bij kinderen betrof 62 patiënten van 1 jaar tot jonger dan 18 jaar van wie de ITP eerder was behandeld (inclusief een aantal van wie de milt was verwijderd). Het bloedplaatjesgehalte steeg tot boven de drempelwaarde bij 52 % van de patiënten die Nplate kregen (22 van de 42) en bij 10 % van de patiënten die een placebo kregen (2 van de 20).

Langetermijnstudies onder meer dan 1 000 patiënten (van wie sommigen langer dan 5 jaar werden behandeld) bevestigden dat Nplate zowel bij patiënten van wie de milt was verwijderd als bij patiënten die hun milt nog hadden effectief bleef.

Welke risico's houdt het gebruik van Nplate in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Nplate bij volwassenen (waargenomen bij meer dan 1 op de 10 patiënten) omvatten hoofdpijn, infecties van de neus en de keel en allergische reacties (overgevoelighedsreacties) zoals huiduitslag, jeuk en snel opkomende onderhuidse zwellingen. De

meest voorkomende bijwerkingen bij kinderen omvatten infecties van de neus en de keel, een loopneus, hoesten, koorts, mond- en keelpijn, buikpijn, diarree, huiduitslag en bloedingstoringen. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Nplate.

Nplate mag niet worden gebruikt bij mensen die overgevoelig (allergisch) zijn voor romiplostim, voor een van de andere bestanddelen of voor eiwitten geproduceerd door *Escherichia coli* (een bacterie).

Waarom is Nplate goedgekeurd?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Nplate groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van dit middel.

Het Europees Geneesmiddelenbureau merkte op dat Nplate zowel bij patiënten die hun milt hadden laten verwijderen als bij patiënten die hun milt niet hadden laten verwijderen effectief was. De verbetering in bloedplaatjesaantal was in beide groepen langdurig en klinisch relevant, ook al houdt de behandeling de symptomen alleen onder controle en leidt deze niet tot genezing. Daarom dient bij patiënten met een intacte milt de mogelijkheid om de milt te verwijderen periodiek te worden beoordeeld.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Nplate te waarborgen?

Het bedrijf dat Nplate op de markt brengt zal een 'dosiscalculator' aan artsen verstrekken als hulpmiddel om de te injecteren hoeveelheid Nplate te berekenen. Deze hoeveelheden kunnen soms zeer klein zijn. Artsen kunnen ook een trainingspakket voor thuisoediening ontvangen, met daarin materiaal over het trainen van patiënten die zichzelf met Nplate zullen injecteren en materiaal voor patiënten over het bereiden van het geneesmiddel voor injectie.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Nplate, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Overige informatie over Nplate

De Europese Commissie heeft op 4 februari 2009 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Nplate verleend.

Het volledige EPAR voor Nplate is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Nplate.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Nplate is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 12-2017.