

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

### Nplate romiplostym

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Nplate. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Nplate.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Nplate, należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

### Co to jest produkt Nplate i w jakim celu się go stosuje?

Lek Nplate stosuje się u pacjentów w wieku od pierwszego roku życia z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną (idiopatyczną). W przebiegu tego schorzenia układ odpornościowy pacjenta niszczy płytki krwi (elementy krwi biorące udział w jej krzepnięciu). Pacjenci z pierwotną małopłytkowością immunologiczną mają niską liczbę płytek krwi i występuje u nich ryzyko krwawienia.

Lek Nplate stosuje się wówczas, gdy nie zadziałała terapia lekami takimi jak kortykosteroidy lub immunoglobuliny. Lek Nplate stosuje się zarówno u pacjentów, u których przeprowadzono zabieg usunięcia śledziony w celu opanowania choroby, jak i u pacjentów z zachowaną śledzioną. Śledziona to narząd znajdujący się za żołądkiem biorący udział w usuwaniu płytek krwi.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z pierwotną małopłytkowością immunologiczną, choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 27 maja 2005 r. produkt Nplate uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Lek zawiera substancję czynną romiplostym.

### Jak stosować produkt Nplate?

Lek Nplate wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie tym produktem powinno być prowadzone pod nadzorem lekarza z doświadczeniem w leczeniu chorób krwi.

Nplate ma postać proszku, z którego sporządza się roztwór do wstrzykiwań. Lek podaje się raz na tydzień w postaci wstrzyknięcia podskórnego. Wielkość dawki początkowej zależy od masy ciała pacjenta, a następnie dawka jest dostosowywana tak, aby zapewnić utrzymanie liczby płytek krwi na określonym poziomie. Leczenie należy przerwać, jeśli po 4 tygodniach stosowania maksymalnej dawki leku Nplate nie nastąpił wzrost liczby płytek krwi wystarczający do ograniczenia ryzyka krwawień. Dorośli pacjenci, u których poziom płytek krwi ustabilizował się mogą samodzielnie wstrzykiwać sobie lek po odpowiednim przeszkoleniu.

Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Jak działa produkt Nplate?**

Substancja czynna leku Nplate, romiplostym, jest środkiem pobudzającym wytwarzanie płytek krwi. W organizmie wytwarzanie płytek krwi w szpiku kostnym jest stymulowane przez hormon zwany „trombopoetyną”. Romiplostym został zaprojektowany w taki sposób, aby łączył się z tymi samymi celami (receptorami), z którymi łączy się trombopoetyna, i pobudzał je. Poprzez naśladowanie działania trombopoetyny romiplostym pobudza wytwarzanie płytek krwi, powodując zwiększenie ich liczby i zmniejszenie ryzyka krwawienia.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Nplate zaobserwowano w badaniach?**

W dwóch badaniach głównych z udziałem osób dorosłych i w trzecim badaniu z udziałem dzieci stwierdzono, że lek Nplate jest skuteczny w leczeniu przewlekłej pierwotnej małopłytkowości immunologicznej. We wszystkich badaniach lek Nplate porównywano z placebo (leczenie pozorowane). Pacjentów leczono przez 24 tygodnie, a głównym kryterium oceny skuteczności leczenia był wzrost liczby płytek krwi powyżej wartości progowej 50 mln płytek na mililitr krwi, utrzymujący się przynajmniej przez sześć z ostatnich ośmiu tygodni leczenia. Liczba płytek krwi wynosząca poniżej 30 mln na mililitr stwarza ryzyko krwawienia u pacjentów, natomiast prawidłowa liczba płytek krwi wynosi od 150 do 400 mln na mililitr.

W pierwszym badaniu uczestniczyło 63 pacjentów, u których usunięcie śledziony nie zapewniło właściwej kontroli choroby. Liczba płytek wzrosła powyżej wartości progowej u 38% (16 z 42) pacjentów otrzymujących lek Nplate, w porównaniu z brakiem takich przypadków w grupie 21 pacjentów, którzy otrzymywali placebo.

Drugie badanie obejmowało 62 pacjentów z zachowaną śledzioną, którzy w przeszłości byli leczeni z powodu pierwotnej małopłytkowości immunologicznej. Liczba płytek wzrosła powyżej wartości progowej u 61% (25 z 41) pacjentów otrzymujących lek Nplate, w porównaniu z 5% (1 z 21) pacjentów, którzy otrzymywali placebo.

W badaniu z udziałem dzieci uczestniczyło 62 pacjentów w wieku od 1 do poniżej 18 lat, którzy w przeszłości byli leczeni z powodu pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (w tym osoby po zabiegu usunięcia śledziony). Liczba płytek wzrosła powyżej wartości progowej u 52% (22 z 42) pacjentów otrzymujących lek Nplate, w porównaniu z 10% (2 z 20) pacjentów, którzy otrzymywali placebo.

W badaniach długoterminowych z udziałem ponad 1000 pacjentów, z których część była leczona przez okres dłuższy niż 5 lat, potwierdzono, że lek Nplate pozostawał skuteczny zarówno u pacjentów z usuniętą śledzioną, jak i u osób z zachowaną śledzioną.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Nplate?**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Nplate u osób dorosłych (obserwowane u więcej niż 1 pacjenta na 10) to ból głowy, zakażenia nosa i gardła oraz reakcje alergiczne (nadwrażliwość) takie jak wysypka, świąd i gwałtowny obrzęk podskórny. Najczęstsze działania niepożądane u dzieci obejmują zakażenia nosa i gardła, katar, kaszel, gorączkę, ból jamy ustnej i gardła, ból brzucha, biegunkę, wysypkę i powstawanie zasinień. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Nplate znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Nplate nie wolno podawać osobom, u których występuje nadwrażliwość (alergia) na romiplostym, którykolwiek składnik produktu bądź na białka wytwarzane przez bakterię *Escherichia coli*.

## **Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Nplate?**

Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania produktu Nplate przewyższają ryzyko, i zaleciła jego dopuszczenie do stosowania w UE.

Agencja uznała, że skuteczność leku Nplate wykazano zarówno w przypadku pacjentów po zabiegu usunięcia śledziony, jak i u pacjentów z zachowaną śledzioną. Poprawa w poziomie płytek krwi była długotrwała i istotna klinicznie w obu grupach, choć terapia leczy jedynie objawy, a nie samą chorobę. Dlatego też u pacjentów, którzy nie przeszli zabiegu usunięcia śledziony, należy okresowo dokonywać ponownej oceny konieczności dokonania takiego zabiegu.

## **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Nplate?**

Firma, która wprowadza lek Nplate do obrotu dostarczy lekarzom „kalkulator dozowania”, aby pomóc im w obliczaniu czasem bardzo małych ilości leku Nplate, które należy wstrzyknąć. Lekarze mogą również otrzymać pakiet szkoleniowy dotyczący podawania leku w domu, zawierający materiały na temat szkolenia pacjentów, którzy samodzielnie będą wykonywać wstrzyknięcia leku Nplate oraz materiały dla pacjentów na temat przygotowania leku do wstrzyknięcia.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Nplate w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące produktu Nplate**

W dniu 4 lutego 2009 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Nplate do obrotu, ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku Nplate znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Nplate należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Nplate znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Data ostatniej aktualizacji: 12.2017.