



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/362868/2024
EMA/H/C/002697

Opsumit (*macytentan*)

Przegląd wiedzy na temat leku Opsumit i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Opsumit i w jakim celu się go stosuje

Lek Opsumit jest lekiem stosowanym w długotrwałej terapii tętniczego nadciśnienia płucnego (ang. *pulmonary arterial hypertension*, PAH) — choroby, w której występuje nieprawidłowo wysokie ciśnienie krwi w tętnicach płucnych, powodując takie objawy jak bezdech i zmęczenie.

Lek Opsumit stosuje się u osób dorosłych, młodzieży i dzieci w wieku od 2 lat, u których PAH wiąże się z umiarkowanym lub wyraźnym ograniczeniem aktywności fizycznej (odpowiednio dla klasy II lub III WHO). Lek Opsumit może być stosowany samodzielnie lub w skojarzeniu z innymi lekami stosowanymi w leczeniu PAH.

Substancją czynną zawartą w leku Opsumit jest macytentan.

Jak stosować lek Opsumit

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu PAH. Lek jest dostępny w postaci tabletek, które należy przyjmować raz na dobę. W przypadku dzieci lek Opsumit jest również dostępny w postaci tabletek do sporządzania zawiesiny doustnej.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Opsumit znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Opsumit

W przebiegu tętniczego nadciśnienia płucnego występuje znaczne zwężenie małych naczyń krwionośnych (tętniczki) w płucach. Ponieważ, aby krew mogła przepływać przez te zwężone naczynia, konieczne jest zwiększenie ciśnienia, prowadzi to do wzrostu ciśnienia krwi w tętnicach prowadzących do płuc.

Substancja czynna leku Opsumit, macytentan, działa poprzez blokowanie receptorów endoteliny. Stanowią one część naturalnego mechanizmu w organizmie, który może powodować zwężanie małych naczyń krwionośnych. U pacjentów z PAH mechanizm ten jest zbyt aktywny, a macytentan, poprzez



blokowanie receptorów endoteliny, pomaga poszerzyć tętniczki w płucach, obniżając tym samym ciśnienie krwi.

Korzyści ze stosowania leku Opsumit wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 742 osób dorosłych z PAH wykazano, że lek Opsumit zmniejsza ryzyko nasilenia się objawów PAH. W badaniu tym pacjentom podawano lek Opsumit lub placebo (leczenie pozorowane) jako dodatek do innych metod leczenia PAH średnio przez 2 lata. Nasilenie się objawów PAH zaobserwowano u około 37% pacjentów przyjmujących placebo w porównaniu z 24% pacjentów przyjmujących lek Opsumit.

W drugim badaniu głównym 148 nastolatków i dzieci z PAH w wieku powyżej 2 lat otrzymywało lek Opsumit lub standardowe leczenie średnio przez około 3 lata. Podczas badania nasilenie się choroby wystąpiło u około 29% pacjentów przyjmujących lek Opsumit i 32% pacjentów otrzymujących standardowe leczenie. Dane wykazały również, że dzieci i młodzież, którym podawano lek Opsumit, były w stanie osiągnąć poziom leku we krwi porównywalny z poziomem obserwowanym u osób dorosłych.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Opsumit

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Opsumit znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Opsumit u osób dorosłych i młodzieży (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: zapalenie błony śluzowej nosa i gardła (stan zapalny nosa i gardła), anemia (niski poziom czerwonych krwinek) i ból głowy. Działania niepożądane u dzieci i młodzieży są porównywalne z działaniami obserwowanymi u osób dorosłych, ale obejmują również: zakażenie górnych dróg oddechowych (nosa i gardła), zapalenie błony śluzowej nosa (zatłokany nos i katar) oraz zapalenie żołądka i jelit (biegunka i wymioty).

W badaniach na zwierzętach wykazano niekorzystny wpływ leku Opsumit na rozwój zarodków. Leku nie wolno zatem stosować u kobiet w ciąży lub karmiących piersią oraz u kobiet mogących zajść w ciążę, niestosujących skutecznej antykoncepcji. Kobiety nie powinny również zachodzić w ciążę w pierwszym miesiącu po zakończeniu leczenia.

Leku Opsumit nie wolno także stosować u pacjentów z ciężkimi zaburzeniami czynności wątroby lub z wysokim stężeniem enzymów wątrobowych we krwi.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Opsumit w UE

Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Opsumit przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE. U osób dorosłych wykazano, że lek Opsumit skutecznie zmniejsza liczbę chorób lub zgonów spowodowanych PAH. U młodzieży i dzieci dane z badań nie pozwalają na wyciągnięcie jednoznacznych wniosków na temat korzyści ze stosowania leku Opsumit w odniesieniu do progresji choroby, jednakże oczekuje się, że lek Opsumit będzie działał w taki sam sposób, jak u osób dorosłych, co potwierdzają dane dotyczące zachowania leku w organizmie. Zgłaszane działania niepożądane są podobne do zgłaszanych w przypadku innych leków z tej grupy i uznaje się je za możliwe do opanowania. Leku Opsumit nie wolno jednak nigdy stosować u kobiet w ciąży lub kobiet mogących zajść w ciążę i niestosujących wiarygodnej antykoncepcji.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Opsumit

Firma, która wprowadza lek Opsumit do obrotu, opracowała materiały edukacyjne dla pacjentów i personelu medycznego zawierające informacje na temat środków ostrożności, jakie należy podjąć podczas stosowania leku Opsumit. Karty informacyjne dla pacjentów będą zawierać ostrzeżenie, że leku nie wolno stosować u kobiet w ciąży oraz że kobiety mogące zajść w ciążę muszą stosować skuteczną antykoncepcję i raz w miesiącu powinny wykonywać test ciążowy.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Opsumit w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Opsumit są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Opsumit są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Opsumit

Lek Opsumit otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 20 grudnia 2013 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Opsumit znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opsumit.

Data ostatniej aktualizacji: 09.2024.