



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/762197/2010
EMA/H/C/000689

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Siklos

hydroksykarbamid

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Siklos. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Siklos do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania leku.

Co to jest Siklos?

Siklos jest lekiem zawierającym substancję czynną hydroksykarbamid. Lek jest dostępny w tabletkach (100 i 1000 mg). Tabletki 1000 mg mają specjalne wyżłobienia, więc mogą być łatwo podzielone na cztery równe części.

W jakim celu stosuje się produkt Siklos?

Produkt Siklos stosuje się u osób dorosłych, młodzieży i dzieci powyżej 2. roku życia z niedokrwistością sierpowatokrwinkową – chorobą genetyczną objawiającą się tym, że czerwone krwinki stają się sztywne i lepkie oraz zmieniają swój kształt z postaci dysku na półksiężyc (jak sierp). Produkt stosuje się, aby zapobiegać nawracającym, bolesnym zatorom naczyń krwionośnych do których dochodzi, gdy naczynia krwionośne zostaną zatkane przez nieprawidłowe czerwone krwinki, co ogranicza przepływ krwi do narządów. Mogą one obejmować ACS, schorzenie zagrażające życiu, kiedy to pacjent doświadcza nagłego bólu klatki piersiowej, gorączki, trudności w oddychaniu lub wykazuje oznaki płynu w płucach na zdjęciu rentgenowskim.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z niedokrwistością sierpowatokrwinkową choroba ta jest uznawana za rzadko występującą, zatem w dniu 9 lipca 2003 r. produkt Siklos uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.



Jak stosować produkt Siklos?

Leczenie produktem Siklos powinien rozpocząć lekarz, który ma doświadczenie w leczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej.

Produkt Siklos przyjmuje się raz na dobę, najlepiej rano przed śniadaniem. Dawka początkowa wynosi zazwyczaj 15 mg na kilogram masy ciała. Aby przygotować dawkę, można zastosować najdogodniejsze moce tabletki (100 lub 1000 mg), a w razie potrzeby można podzielić tabletkę 1000 mg na ćwiartki (250 mg). Dawka jest dostosowywana do odpowiedzi na leczenie, przy czym zwyczajowa dawka wynosi między 15 a 30 mg na kilogram masy ciała na dobę. Dawki do 35 mg na kilogram masy ciała na dobę mogą być stosowane w wyjątkowych przypadkach, o ile krew pacjenta jest monitorowana pod kątem działań niepożądanych. U pacjentów, u których nie występuje odpowiedź na taką dawkę lub u których występują działania niepożądane, może zajść konieczność przerwania lub zawieszenia leczenia. Dawkę produktu Siklos należy zmniejszyć u pacjentów z łagodną lub umiarkowaną niedoczynnością nerek. Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Jak działa produkt Siklos?

Substancja czynna produktu Siklos, hydroksykarbamid, hamuje wzrost i reprodukcję niektórych komórek, takich jak krwinki. Mimo że jego dokładny mechanizm działania w tej chorobie nie jest znany, hydroksykarbamid może zmniejszyć liczbę komórek, które krążą we krwi, jak również zapobiegać zmianie kształtu czerwonych krwinek u pacjentów z niedokrwistością sierpowatokrwinkową. Obniża to ryzyko wystąpienia zatorów naczyń krwionośnych.

Hydroksykarbamid, znany wcześniej jako hydroksymocznik, jest dostępny w Unii Europejskiej od kilku dziesięcioleci i ma zastosowanie w leczeniu innych chorób, w tym niektórych rodzajów nowotworów.

Jak badano produkt Siklos?

Ponieważ hydroksykarbamid jest dobrze znaną substancją, stosowaną już w innych lekach, firma wykorzystała dane z literatury naukowej na poparcie stosowania produktu Siklos u osób dorosłych i dzieci z niedokrwistością sierpowatokrwinkową. W szczególności przedstawiła ona dowody na skuteczność produktu Siklos z 11 opublikowanych badań z udziałem 378 dzieci oraz z trzech krajowych spisów informacji na temat 155 dzieci z niedokrwistością sierpowatokrwinkową leczonych produktem Siklos przez okres do 7 lat. Firma przedstawiła także dowody z badania z udziałem 299 osób dorosłych, w którym skutki działania produktu Siklos porównywano do skutków placebo (leczenie pozorowane), jak i z wyniki innego badania z udziałem 430 osób dorosłych, oraz jeden krajowy rejestr informacji o 123 osobach dorosłych leczonych produktem Siklos. W badaniach porównywano liczbę zatorów naczyniowych przed leczeniem produktem Siklos i po nim, zdefiniowane jako każdy bolesny epizod dotyczący rąk, nóg, brzucha, pleców oraz klatki piersiowej.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Siklos zaobserwowano w badaniach?

U pacjentów wystąpiło mniej zatorów naczyniowych podczas leczenia produktem Siklos niż przed leczeniem, z częstością wypadającą między 66% a 80% odpowiednio u dzieci i osób dorosłych. Liczba przypadków ACS wypadła również między 25% a 33%. Zaobserwowano również zmniejszenie liczby przyjęć do szpitala oraz zmniejszenie liczby dni spędzonych w szpitalu. Efekty utrzymywały się do siedmiu lat. W badaniu, w którym porównano skutki działania produktu Siklos do placebo u osób dorosłych, u pacjentów przyjmujących produkt Siklos odnotowano mniej nawracających zatorów naczyniowych (2,5 nawrotu na rok) w porównaniu z pacjentami otrzymującymi placebo (4,5 nawrotu na rok).

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Siklos?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem produktu Siklos (obserwowane u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to: zahamowanie czynności szpiku wywołujące neutropenię (obniżenie liczby krwinek białych obojętnochłonnych), retikulocytopenię (niski poziom retikulocytów, rodzaj niedojrzałych czerwonych krwinek) oraz makrocytemię (powiększenie czerwonych krwinek). Pacjenci przyjmujący produkt Siklos powinni przeprowadzać badania krwi przed leczeniem i regularnie w trakcie leczenia w celu sprawdzenia liczby krwinek oraz monitorowania nerek i wątroby. Liczba krwinek zazwyczaj wraca do normy w ciągu 2 tygodni od zakończenia terapii produktem Siklos. U mężczyzn leczonych produktem Siklos bardzo często obserwowano odwracalną oligospermię lub azospermię (zbyt niska liczba plemników w nasieniu lub ich brak). Pełny wykaz wszystkich działań niepożądanych związanych ze stosowaniem produktu Siklos znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Produktu Siklos nie wolno stosować u osób z poważnymi dolegliwościami nerek lub wątroby ani u osób, u których występuje niebezpiecznie niskie stężenie krwinek. W trakcie zażywania produktu Siklos należy zaprzestać karmienia piersią. Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdzono produkt Siklos?

CHMP uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Siklos przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Siklos?

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania leku Siklos opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących leku Siklos zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów. Firma wytwarzająca produkt Siklos zapewni również pakiety informacyjne dla lekarzy i pacjentów przedstawiające informacje dotyczące bezpieczeństwa leku.

Inne informacje dotyczące produktu Siklos:

W dniu 29 czerwca 2007 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie leku Siklos do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Leków Sierocych dotyczące produktu Siklos znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Siklos znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Siklos należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 03.2014.