

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Nplate

romiplostim

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Nplate. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Nplate.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Nplate, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Nplate e para que é utilizado?

O Nplate é utilizado em doentes a partir de 1 ano de idade com púrpura trombocitopénica imune (PTI) crónica (longa duração), uma doença em que o sistema imunitário do doente destrói as plaquetas (componentes do sangue que contribuem para a sua coagulação). Os doentes com PTI apresentam contagens de plaquetas reduzidas e risco de hemorragia.

O Nplate é utilizado quando o tratamento com medicamentos como os corticosteroides ou as imunoglobulinas não foi bem-sucedido. O Nplate pode ser utilizado em doentes aos quais o baço tenha sido removido para controlar a doença e em doentes que ainda têm o baço. O baço, um órgão situado atrás do estômago, está envolvido na eliminação das plaquetas do sangue.

Dado o número de doentes afetados por PTI ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Nplate foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 27 de maio de 2005.

O Nplate contém a substância ativa romiplostim.

Como se utiliza o Nplate?

O Nplate só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doenças do sangue.

O Nplate é um pó para preparação de uma solução injetável. É administrado uma vez por semana por injeção subcutânea (sob a pele). A dose inicial depende do peso corporal do doente e é ajustada para manter as contagens de plaquetas nos valores de referência. O tratamento deve ser interrompido se a contagem de plaquetas não atingir níveis suficientemente elevados para reduzir o risco de hemorragia após 4 semanas de tratamento com a dose máxima de Nplate. Os adultos cujos níveis de plaquetas são estáveis podem autoadministrar a injeção do medicamento depois de receberem treino adequado.

Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona o Nplate?

A substância ativa do Nplate, o romiplostim, estimula a produção de plaquetas. No organismo, uma hormona denominada «trombopoietina» normalmente estimula a produção de plaquetas na medula óssea. O romiplostim foi concebido para se ligar aos mesmos alvos (recetores) que a trombopoietina e os estimular. Ao mimetizar a ação da trombopoietina, o romiplostim estimula a produção de plaquetas, aumentando assim as contagens de plaquetas no sangue e reduzindo o risco de hemorragia.

Quais os benefícios demonstrados pelo Nplate durante os estudos?

Dois estudos principais realizados em adultos e um terceiro realizado em crianças demonstraram que o Nplate é eficaz no tratamento da PTI crónica. Todos os estudos compararam o Nplate com um placebo (um tratamento simulado). Os doentes foram tratados durante 24 semanas e o principal parâmetro de eficácia foi o aumento da contagem de plaquetas acima de um limiar de 50 milhões de plaquetas por mililitro de sangue durante, pelo menos, 6 das últimas 8 semanas de tratamento. Uma contagem de plaquetas abaixo dos 30 milhões por mililitro coloca os doentes em risco de hemorragia, enquanto a contagem normal é de 150 a 400 milhões de plaquetas por mililitro.

O primeiro estudo incluiu 63 doentes cuja doença não ficou controlada apesar da remoção do baço. A contagem de plaquetas aumentou acima do limiar em 38 % dos doentes que receberam Nplate (16 em 42), em comparação com nenhum dos 21 doentes que receberam o placebo.

O segundo estudo incluiu 62 doentes cuja PTI tinha sido tratada anteriormente (mas que não tinham o seu baço removido). A contagem de plaquetas aumentou acima do limiar em 61 % dos doentes que receberam Nplate (25 em 41), em comparação com 5 % dos doentes que receberam o placebo (1 em 21).

O estudo em crianças incluiu 62 doentes entre 1 e menos de 18 anos de idade cuja PTI tinha sido tratada anteriormente (incluindo alguns doentes aos quais o baço tinha sido removido). A contagem de plaquetas aumentou acima do limiar em 52 % dos doentes que receberam o Nplate (22 em 42), em comparação com 10 % dos doentes que receberam o placebo (2 em 20).

Estudos de longa duração que incluíram mais de 1000 doentes, alguns tratados durante mais de 5 anos, confirmaram que a eficácia do Nplate se manteve tanto em doentes aos quais o baço tinha sido removido como em doentes que tinham o baço.

Quais são os riscos associados ao Nplate?

Os efeitos secundários mais frequentes em adultos associados ao Nplate (observados em mais de 1 em cada 10 doentes) incluem dor de cabeça, infeções do nariz e da garganta e reações alérgicas (hipersensibilidade), tais como erupção cutânea, comichão e inchaço rápido debaixo da pele. Os efeitos secundários mais frequentes em crianças incluem infeções do nariz e da garganta, corrimento nasal, tosse, febre, dor na boca e na garganta, dor abdominal (barriga), diarreia, erupção cutânea e nódos

negras. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Nplate, consulte o Folheto Informativo.

O uso do Nplate é contraindicado em pessoas hipersensíveis (alérgicas) ao romiplostim, a qualquer outro componente do medicamento ou a proteínas produzidas por *Escherichia coli* (uma bactéria).

Por que foi aprovado o Nplate?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios do Nplate são superiores aos seus riscos e recomendou a concessão de uma autorização de introdução no mercado para o medicamento.

A Agência concluiu que o Nplate foi eficaz em doentes aos quais foi removido o baço, bem como em doentes aos quais o baço não foi removido. A melhoria na contagem de plaquetas foi duradoura e clinicamente relevante em ambos os grupos, embora o tratamento apenas controle os sintomas e não seja uma cura. Por conseguinte, em doentes com o baço intacto, a possibilidade de remover o baço deve ser avaliada periodicamente.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Nplate?

A empresa que comercializa o Nplate fornecerá aos médicos um «calculador de dose» para os ajudar a calcular os volumes por vezes muito reduzidos de Nplate que é necessário injetar. Os médicos podem também receber pacotes de material informativo sobre a administração do medicamento em casa contendo materiais sobre como treinar os doentes a autoadministrarem a injeção de Nplate, bem como materiais para os doentes sobre como preparar o medicamento para a injeção.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Nplate.

Outras informações sobre o Nplate

Em 4 de fevereiro de 2009, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Nplate.

O EPAR completo relativo ao Nplate pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Nplate, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Nplate pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 12-2017.