



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/471783/2017
EMA/H/C/004095

Resumo do EPAR destinado ao público

Rydapt

midostaurina

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Rydapt. 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 Rydapt.

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

O que é o Rydapt e para que é utilizado?

O Rydapt é um medicamento contra o cancro utilizado para o tratamento de adultos com leucemia mieloide aguda (LMA), um tipo de cancro que afeta os glóbulos brancos, com um diagnóstico recente. É utilizado inicialmente em associação com outros medicamentos para o tratamento do cancro (quimioterapia) e em monoterapia (isoladamente) assim que a quimioterapia tenha sido dada por completa, nos casos em que a doença tenha respondido ao tratamento. O Rydapt apenas é administrado quando a LMA apresenta uma alteração genética específica denominada mutação FLT3.

O Rydapt é também utilizado em monoterapia para o tratamento de adultos com as seguintes doenças relacionadas com um tipo de glóbulos brancos denominado mastócito: mastocitose sistémica agressiva, mastocitose sistémica com neoplasia hematológica associada (cancro do sangue) e leucemia de mastócitos.

Dado o número de doentes afetados por estas doenças ser reduzido, as doenças são consideradas raras, pelo que o Rydapt foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em diversas datas (ver abaixo).

O Rydapt contém a substância ativa midostaurina.



Como se utiliza o Rydapt?

O Rydapt só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado por um médico com experiência na utilização de medicamentos contra o cancro. O Rydapt está disponível na forma de cápsulas contendo 25 mg de midostaurina. A dose inicial habitual é de 50 mg (duas cápsulas) duas vezes por dia para a LMA, nos dias 8 a 21 de um ciclo de tratamentos com a duração de 28 dias, e, de seguida, uma vez por dia depois de a doença ter respondido. O tratamento é continuado durante um máximo de 12 ciclos, dependendo da resposta do doente. Em doenças que envolvem os mastócitos, a dose inicial é de 100 mg (quatro cápsulas) duas vezes por dia; o tratamento é continuado enquanto for benéfico para o doente. Caso um doente desenvolva determinados efeitos secundários graves, o médico pode decidir reduzir as doses subsequentes ou adiar ou interromper o tratamento.

Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona o Rydapt?

A substância ativa do Rydapt, a midostaurina, é um "inibidor da tirosina cinase". Isto significa que bloqueia a ação das enzimas conhecidas como recetores tirosina cinases. Em doentes com uma mutação FLT3, uma forma anormal da tirosina cinase FLT3 estimula a sobrevivência e o crescimento das células de LMA. Ao bloquear a enzima FLT3 anómala, o Rydapt ajuda a promover a morte das células anómalas e a controlar a disseminação do cancro. O Rydapt bloqueia também uma forma mutada de uma outra enzima, a cinase KIT, a qual desempenha um papel importante no estímulo do crescimento anómalo de mastócitos nas doenças que envolvem mastócitos.

Quais os benefícios demonstrados pelo Rydapt durante os estudos?

O Rydapt demonstrou prolongar a sobrevivência de doentes com LMA associada a uma mutação FLT3. Um estudo principal incluiu 717 desses doentes e comparou Rydapt com um placebo (tratamento simulado), inicialmente como tratamento adjuvante associado a outros medicamentos para o tratamento do cancro, e seguido por tratamento com Rydapt ou placebo em monoterapia nos casos em que a doença respondeu. Cerca de 51% dos doentes que receberam Rydapt e 43% dos doentes que receberam placebo ainda se encontravam vivos após 5 anos.

Um outro estudo principal que incluiu 116 doentes com doenças envolvendo mastócitos demonstrou igualmente benefícios. O estudo analisou a resposta ao tratamento com Rydapt em doentes com mastocitose sistémica agressiva, mastocitose sistémica associada a cancro do sangue ou leucemia de mastócitos. Globalmente, e utilizando-se os critérios mais exigentes e atualizados, a doença respondeu ao tratamento em cerca de 28% dos doentes (32 em 113 indivíduos). Quando analisada em separado, a taxa de resposta foi mais elevada (60%) em doentes com mastocitose sistémica agressiva.

Quais são os riscos associados ao Rydapt?

Quando utilizado no tratamento da LMA, os efeitos secundários mais frequentes do Rydapt (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são neutropenia febril (febre associada a contagens baixas de glóbulos brancos, que ocorre em quase todos os doentes), dermatite exfoliativa (pele descamada e inflamada), vômitos, cefaleias (dores de cabeça), petéquias (minúsculos pontos vermelhos sob a pele causados por pequenas hemorragias) e febre. Os efeitos secundários graves mais frequentes foram neutropenia febril, linfopenia (contagens baixas de linfócitos, um tipo específico de glóbulo branco), infeções no local do cateter (um tubo inserido na veia), dermatite exfoliativa, hiperglicemia (níveis elevados de açúcar no sangue) e náusea (enjoo).

Quando utilizado no tratamento de doenças relacionadas com mastócitos, os efeitos secundários mais frequentes (afetando um terço ou mais dos doentes) foram náusea, vômitos, diarreia, edema periférico (inchaço dos tornozelos e dos pés) e fadiga (cansaço). Os efeitos secundários graves mais frequentes foram fadiga, sépsis (envenenamento do sangue), pneumonia (infecção dos pulmões), neutropenia febril e diarreia.

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

O Rydapt não deve ser administrado a doentes que tomam determinados medicamentos que afetam o modo como este é metabolizado no organismo. Para a lista completa de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Por que foi aprovado o Rydapt?

O Rydapt demonstrou ser benéfico para doentes com LMA associada a uma mutação FLT3. A segurança do medicamento era aceitável quando ponderada em relação à gravidade da doença e foi considerada controlável.

Nas doenças relacionadas com mastócitos, obtiveram-se igualmente evidências de eficácia. Apesar de o Rydapt não ter sido comparado com outros tratamentos, dada a raridade das doenças e a necessidade médica não preenchida dos doentes que delas sofrem, os benefícios clínicos foram evidentes e os efeitos adversos aceitáveis.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios do Rydapt são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE.

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

A empresa que comercializa o Rydapt irá concluir mais três estudos para fornecer à Agência evidências que apoiem a eficácia do medicamento em doentes idosos com LMA.

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

Outras informações sobre o Rydapt

O EPAR completo relativo ao Rydapt 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 Rydapt, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Os resumos do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Rydapt podem ser consultados no sítio Internet da Agência:

[leucemia mieloide aguda](#)

[mastocitose](#).