



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19 iunie 2025
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Rezultatul evaluării privind utilizarea Revolade în tratamentul anemiei aplastice severe la copii

Agenția Europeană pentru Medicamente a finalizat evaluarea unei cereri de extindere a utilizării Revolade pentru a include copiii cu anemie aplastică severă (AAS). Deși nu a recomandat această utilizare, EMA a fost de acord ca datele relevante din studiul prezentat împreună cu cererea să fie incluse în informațiile referitoare la medicament, astfel încât profesioniștii din domeniul sănătății să aibă acces la date actualizate privind efectele Revolade la persoanele cu AAS.

Ce este Revolade și pentru ce se utilizează?

Revolade este un medicament utilizat pentru a trata:

- trombocitopenia imună primară (TIP), o boală în care sistemul imunitar al pacientului distruge trombocitele (componente ale sângelui care ajută la coagulare). Pacienții cu TIP au un număr mic de trombocite în sânge (trombocitopenie) și au risc de sângerare. Revolade se utilizează la pacienți începând cu vârsta de 1 an la care tratamentul cu medicamente precum corticosteroizi sau imunoglobuline nu a dat rezultate. La copii și adolescenți, medicamentul se utilizează după cel puțin 6 luni de la apariția bolii;
- trombocitopenia la adulți cu hepatită C cronică (de lungă durată), o boală de ficat cauzată de virusul hepatitei C. Revolade se utilizează când trombocitopenia este prea severă pentru a permite tratamentul pe bază de interferon (un tip de tratament pentru hepatita C);
- AAS dobândită (o boală în care măduva nu produce suficiente celule sanguine sau trombocite). Dobândită înseamnă că boala nu este ereditară. Revolade se utilizează la adulți la care boala nu este controlată cu terapie imunosupresivă (medicamente care reduc imunitatea organismului) și care nu sunt eligibili pentru transplant de celule stem hematopoietice (în care măduva pacientului se înlocuiește cu celule stem de la un donator pentru a forma măduvă nouă).

Revolade este autorizat în UE din martie 2010. Medicamentul conține substanța activă eltrombopag și este disponibil sub formă de comprimate și de pulbere pentru suspensie (lichid) care se administrează pe cale orală.

Mai multe informații despre utilizările actuale ale Revolade se pot găsi pe site-ul agenției:

ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Ce modificare solicitase compania?

Compania a solicitat extinderea utilizării Revolade la copiii cu vârsta de cel puțin 2 ani cu AAS la care boala nu este controlată cu tratament imunosupresiv sau care a recidivat după tratamentul imunosupresiv și care nu sunt eligibili pentru transplant de celule stem hematopoietice.

Cum acționează Revolade?

În organism, hormonul natural numit „trombopoietină” stimulează producția de trombocite legându-se de anumiți receptori (ținte) din măduva osoasă și activându-i. Ca și trombopoietina, substanța activă din Revolade, eltrombopagul, se leagă tot de receptorii de trombopoietină și îi stimulează. Astfel, producția de trombocite crește, numărul de trombocite se îmbunătățește și scade riscul de sângerare. La unii pacienți cu AAS, Revolade poate să mărească și producția de celule sanguine. La copiii cu vârsta de cel puțin 2 ani cu anemie aplastică severă, se preconizează că Revolade va acționa în același mod ca la adulții cu această afecțiune.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal în desfășurare care a cuprins 51 de copii cu vârsta de cel puțin 2 ani cu AAS care nu erau eligibili pentru transplant de celule stem hematopoietice. În acest studiu, 37 de copii nu primiseră tratament anterior, iar 14 primiseră terapie imunosupresivă, dar boala lor nu era ținută sub control sau recidivase. Toți copiii au primit Revolade în asociere cu terapie imunosupresivă timp de 26 de săptămâni. Medicamentul nu a fost comparat cu alte tratamente sau cu placebo (un preparat inactiv). Principalul obiectiv al studiului a fost de a evalua cum acționează Revolade la copii. Obiectivele secundare au constat în evaluarea siguranței și eficacității medicamentului.

Care au fost concluziile EMA?

EMA a constatat că, deși rezultatele studiului prezentat de solicitant sugerează că copiii cu AAS ar putea beneficia de pe urma tratamentului cu Revolade, doar 14 pacienți din cadrul studiului au corespuns utilizării preconizate. Acest număr a fost considerat prea mic pentru a trage concluzii ferme cu privire la eficacitatea și siguranța Revolade la acești copii.

Prin urmare, EMA a concluzionat că siguranța și eficacitatea Revolade nu au fost stabilite suficient la copiii cu AAS și că medicamentul nu trebuie autorizat pentru acești pacienți. Cu toate acestea, informațiile de prescriere pentru Revolade vor fi actualizate pentru a include datele relevante, astfel încât cadrele medicale să aibă acces la date actualizate privind efectele Revolade la copiii cu AAS.

Acest rezultat afectează pacienții din studii clinice/programe de uz compasional?

Compania a informat agenția că studiul privind Revolade la copii cu AAS a fost încheiat recent și că nu sunt în desfășurare alte studii la acești copii.