



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Nplate

romiplostim

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Nplate. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Nplate.

Pentru informații practice privind utilizarea Nplate, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este Nplate și pentru ce se utilizează?

Nplate se utilizează la pacienți începând cu vârsta de 1 an care suferă de purpură trombocitopenică imună (PTI) cronică, o boală în care sistemul imunitar al pacientului distruge trombocitele (componente ale sângelui care ajută la coagularea acestuia). Pacienții cu purpură trombocitopenică imună au un număr scăzut de trombocite și prezintă risc de sângerare.

Nplate se utilizează când tratamentul cu medicamente precum corticosteroizi sau imunoglobuline nu a avut efect. Nplate se poate utiliza atât la pacienții cărora li s-a scos splina pentru a ține boala sub control, cât și la cei care încă au splină. Splina, un organ situat în spatele stomacului, are rol în eliminarea trombocitelor din sânge.

Din cauza numărului mic de pacienți cu purpură trombocitopenică imună, boala este considerată „rară”, iar Nplate a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 27 mai 2005.

Nplate conține substanța activă romiplostim.

Cum se utilizează Nplate?

Nplate se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratarea tulburărilor de sânge.



Nplate este o pulbere din care se obține o soluție injectabilă. Se administrează o dată pe săptămână, sub formă de injecție subcutanată. Doza inițială depinde de greutatea pacientului și este apoi ajustată pentru a menține numărul trombocitelor la nivelurile țintă. Tratamentul trebuie oprit dacă numărul trombocitelor nu crește suficient pentru a reduce riscul de sângerare după 4 săptămâni de tratament cu doza maximă de Nplate. Adulții la care numărul de trombocite este stabil își pot injecta singuri medicamentul după ce au fost instruiți în mod corespunzător.

Pentru mai multe informații, citiți prospectul.

Cum acționează Nplate?

Substanța activă din Nplate, romiplostimul, stimulează producția de trombocite. În organism, producția de trombocite în măduva osoasă este în mod normal stimulată de un hormon numit „trombopoietină”. Romiplostimul a fost conceput pentru a se lega de aceleași ținte (receptori) ca trombopoietina și pentru a stimula acești receptori. Mimând activitatea trombopoietinei, romiplostimul stimulează producția de trombocite, determinând astfel creșterea numărului de trombocite din sânge și reducând riscul de sângerare.

Ce beneficii a prezentat Nplate pe parcursul studiilor?

În urma a două studii principale efectuate la adulți și a unui al treilea studiu efectuat la copii și adolescenți s-a constatat că Nplate este eficace în tratamentul PTI cronice. În toate studiile, Nplate a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv). Pacienții au primit tratament timp de 24 de săptămâni, iar principala măsură a eficacității a fost creșterea numărului de trombocite peste pragul de 50 de milioane de trombocite pe mililitru de sânge, timp de cel puțin 6 săptămâni din ultimele 8 de tratament. Un număr de trombocite mai mic de 30 de milioane pe mililitru expune pacienții la riscul de sângerare, numărul normal de trombocite fiind între 150 și 400 de milioane pe mililitru.

Primul studiu a cuprins 63 de pacienți la care boala nu era ținută sub control, în ciuda faptului că li se scosese splina. Numărul de trombocite a crescut peste prag la 38 % din pacienții care au primit Nplate (16 din 42), față de niciunul din cei 21 de pacienți care au primit placebo.

Cel de-al doilea studiu a cuprins 62 de pacienți care primiseră anterior tratament pentru PTI (dar cărora nu li se scosese splina). Numărul de trombocite a crescut peste prag la 61 % din pacienții care au primit Nplate (25 din 41), față de 5 % din cei care au primit placebo (1 din 21).

Studiul la copii și adolescenți a cuprins 62 de pacienți cu vârsta între 1 an și mai puțin de 18 ani care primiseră anterior tratament pentru PTI (inclusiv pacienți cărora li se scosese splina). Numărul de trombocite a crescut peste prag la 52 % din pacienții care au primit Nplate (22 din 42), față de 10 % din cei care au primit placebo (2 din 20).

Studiile pe termen lung efectuate la peste 1 000 de pacienți, dintre care unii au fost tratați mai mult de 5 ani, au confirmat că Nplate rămâne eficace atât la pacienții cărora le-a fost scoasă splina, cât și la cei cărora nu le-a fost scoasă.

Care sunt riscurile asociate cu Nplate?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Nplate la adulți (observate la mai mult de 1 pacient din 10) sunt dureri de cap, infecții la nivelul nasului și al gâtului și reacții alergice (hipersensibilitate), cum ar fi erupții pe piele, mâncărime și apariție rapidă a unor umflături sub piele. Cele mai frecvente reacții adverse la copii și adolescenți sunt infecții la nivelul nasului și al gâtului, secreții nazale, tuse, febră,

dureri la nivelul gurii și al gâtului, dureri abdominale (de burtă), diaree, erupții pe piele și învinețire. Pentru lista completă a reacțiilor adverse raportate asociate cu Nplate, citiți prospectul.

Nplate este contraindicat la persoanele care sunt hipersensibile (alergice) la romiplostim, la oricare dintre celelalte ingrediente sau la proteinele produse de Escherichia coli (o bacterie).

De ce a fost aprobat Nplate?

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Nplate sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de punere pe piață pentru acest medicament.

Agenția a constatat că Nplate a fost eficace atât la pacienții cărora le fusese scoasă splina, cât și la pacienții cărora nu le fusese scoasă splina. Creșterea numărului de trombocite a fost de durată și relevantă din punct de vedere clinic la ambele grupuri, deși tratamentul controlează doar simptomele și nu vindecă boala. Din acest motiv, la pacienții cu splina intactă trebuie reevaluată periodic necesitatea unei operații.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Nplate?

Compania care comercializează Nplate va furniza medicilor un „calculator de dozare” care să-i ajute să calculeze cantitățile uneori foarte mici de Nplate care trebuie injectate. De asemenea, medicii pot primi și un pachet de instruire pentru administrarea la domiciliu, care include materiale pentru instruirea pacienților care își vor injecta singuri Nplate, precum și materiale pentru pacienți despre cum să prepare medicamentul pentru injecție.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Nplate, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Alte informații despre Nplate

Comisia Europeană a acordat o autorizație de punere pe piață pentru Nplate, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 4 februarie 2009.

EPAR-ul complet pentru Nplate este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Nplate, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Nplate este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 12-2017.