



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Rydapt

midostaurin

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Rydapt. 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 Rydapt.

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

Ce este Rydapt și pentru ce se utilizează?

Rydapt este un medicament împotriva cancerului care se utilizează pentru tratarea adulților nou diagnosticați cu leucemie granulocitară acută (LGA), un tip de cancer al celulelor albe. Inițial, medicamentul se utilizează în asociere cu alte medicamente împotriva cancerului (chimioterapie), iar după finalizarea chimioterapiei, dacă boala a răspuns la tratament, se utilizează în monoterapie. Rydapt se administrează doar atunci când LGA prezintă o anumită modificare genetică numită mutație FLT3.

De asemenea, Rydapt se utilizează în monoterapie la adulții care suferă de următoarele tulburări ale unui tip de celule albe cunoscute drept celule de tip mastocit: mastocitoză sistemică agresivă, mastocitoză sistemică cu neoplazie hematologică asociată (cancer al sângelui) și leucemie cu celule de tip mastocit.

Din cauza numărului mic de pacienți cu astfel de boli, acestea sunt considerate „rare”, iar Rydapt a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la diferite date (vezi mai jos).

Rydapt conține substanța activă midostaurin.



Cum se utilizează Rydapt?

Rydapt se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat de un medic cu experiență în utilizarea medicamentelor împotriva cancerului. Rydapt este disponibil sub formă de capsule care conțin 25 mg de midostaurin. Doza inițială obișnuită este de 50 mg (două capsule) de două ori pe zi pentru LGA, în zilele 8-21 ale unui ciclu de tratament de 28 de zile, iar ulterior, după ce boala răspunde la tratament, se administrează în fiecare zi. Tratamentul se continuă timp de până la 12 cicluri, în funcție de răspunsul pacienților la tratament. Pentru tulburări ale celulelor de tip mastocit, doza inițială este de 100 mg (patru capsule) de două ori pe zi; tratamentul trebuie continuat atâta timp cât aduce beneficii pacientului. Dacă un pacient manifestă anumite reacții adverse severe, medicul poate să decidă reducerea dozelor ulterioare sau amânarea sau oprirea tratamentului.

Pentru mai multe informații, citiți prospectul.

Cum acționează Rydapt?

Substanța activă din Rydapt, midostaurinul, este un „inhibitor al tirozin kinazei”. Aceasta înseamnă că blochează activitatea anumitor enzime, cunoscute sub denumirea de receptori ai tirozin kinazelor. La pacienții cu mutație FLT3, o formă anormală a tirozin kinazei FLT3 stimulează supraviețuirea și dezvoltarea celulelor LGA. Prin blocarea enzimei FLT3 anormale, Rydapt contribuie la omorârea celulelor anormale și combate răspândirea cancerului. De asemenea, Rydapt blochează forma mutantă a unei alte enzime, kinaza KIT, care are rol important în stimularea unei dezvoltări anormale a celulelor de tip mastocit la pacienții cu tulburări ale acestui tip de celule.

Ce beneficii a prezentat Rydapt pe parcursul studiilor?

S-a demonstrat că Rydapt crește supraviețuirea la pacienții cu LGA asociată cu mutație FLT3. Un studiu principal, care a cuprins 717 de astfel de pacienți, a comparat Rydapt cu placebo (un preparat inactiv), inițial prin adăugare la tratamentul cu alte medicamente împotriva cancerului, urmată de tratament cu Rydapt sau cu placebo în monoterapie la pacienții a căror boală a răspuns la tratamentul inițial. Aproximativ 51 % dintre pacienții cărora li s-a administrat Rydapt și 43 % dintre cei cărora li s-a administrat placebo erau încă în viață după 5 ani.

Un alt studiu principal, care a cuprins 116 pacienți cu tulburări ale celulelor de tip mastocit, a arătat de asemenea că medicamentul prezintă beneficii. Studiul a analizat răspunsul la tratamentul cu Rydapt al pacienților cu mastocitoză sistemică agresivă, cu mastocitoză sistemică cu neoplazie hematologică asociată sau cu leucemie cu celule de tip mastocit. În ansamblu, în urma aplicării celor mai stricte criterii actualizate, boala a răspuns la tratament la aproximativ 28 % dintre pacienți (32 din 113). La o analiză separată, cea mai mare rată de răspuns (60 %) s-a înregistrat la pacienții cu mastocitoză sistemică agresivă.

Care sunt riscurile asociate cu Rydapt?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Rydapt (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) atunci când este utilizat pentru a trata LGA sunt neutropenie febrilă (febră și număr scăzut de celule albe, observate la aproape toți pacienții), dermatită exfoliativă (piele inflamată, care se descuamează), vărsături, durere de cap, peteșii (mici pete de sânge sub piele) și febră. Cele mai frecvente reacții adverse severe au fost neutropenie febrilă, limfopenie (număr scăzut de limfocite, un anumit tip de celule albe), infecții la locul unde a fost introdus un cateter (un tub introdus în venă), dermatită exfoliativă, concentrații crescute ale glucozei în sânge și greață (senzație de rău).

Atunci când este utilizat pentru tulburări ale celulelor de tip mastocit, cele mai frecvente reacții adverse (care au afectat o treime sau mai mult din totalul pacienților) au fost greață, vărsături, diaree, edem periferic (umflături la nivelul gleznelor și picioarelor) și oboseală. Cele mai frecvente reacții adverse severe au fost oboseală, sepsis (intoxicația sângelui), pneumonie (infecția plămânilor), neutropenie febrilă și diaree.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse raportate asociate cu Rydapt, citiți prospectul.

Rydapt este contraindicat la pacienții care iau anumite alte medicamente care afectează modul în care acest medicament este gestionat de către organism. Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

De ce a fost aprobat Rydapt?

S-a demonstrat că Rydapt prezintă beneficii pentru pacienții cu LGA asociată cu mutație FTL3. Siguranța medicamentului a fost acceptabilă pentru o afecțiune atât de severă și a fost considerată gestionabilă.

Și în cazurile de tulburări ale celulelor de tip mastocit au existat dovezi importante ale eficacității. Deși tratamentul cu Rydapt nu a fost comparat cu alte tratamente, având în vedere raritatea afecțiunilor și existența unei necesități medicale nesatisfăcute în cazul pacienților care suferă de acestea, beneficiile clinice au fost clare, iar reacțiile adverse au fost considerate acceptabile.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Rydapt sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

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

Compania care comercializează Rydapt va realiza trei studii suplimentare cu scopul de a furniza Agenției dovezi care să susțină eficacitatea medicamentului pentru pacienții vârstnici care suferă de LGA.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Rydapt, care trebuie respectate de profesioniștii în domeniul sănătății și de pacienți.

Alte informații despre Rydapt

EPAR-ul complet pentru Rydapt 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 Rydapt, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Rydapt sunt disponibile pe site-ul agenției:

[leucemie granulocitară acută](#)

[mastocitoză](#).