

EMA/762197/2010
EMA/H/C/000689

Rezumat EPAR destinat publicului

Siklos

hidroxicarbamidă

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Siklos. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Siklos.

Ce este Siklos?

Siklos este un medicament care conține substanța activă hidroxicarbamidă. Este disponibil sub formă de comprimate (100 și 1 000 mg). Comprimatul de 1 000 mg este marcat cu linii speciale de delimitare, astfel încât să poată fi divizat ușor în patru părți egale.

Pentru ce se utilizează Siklos?

Siklos se utilizează la adulți, adolescenți și copii cu vârsta peste doi ani, cu siclemie, o boală genetică în care celulele roșii din sânge devin rigide și lipicioase și își schimbă forma de disc în formă de semilună (seceră). Se utilizează pentru a preveni crizele vaso-occlusive recurente, dureroase, care se produc când vasele sanguine se blochează din cauza celulelor roșii anormale din sânge, limitând fluxul de sânge către un organ. Ele pot include sindromul toracic acut, o afecțiune care poate fi letală, în care pacientul acuză brusc dureri în piept, febră, respirație greoaie sau semne de lichid în plămâni, depistate la radiografie.

Din cauza numărului mic de pacienți cu siclemie, această boală este considerată „rară”, iar Siklos a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 9 iulie 2003.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Siklos?

Tratamentul cu Siklos trebuie inițiat de un medic care are experiență în abordarea terapeutică a siclemiei.

Siklos se administrează o dată pe zi, de preferință dimineața, înainte de micul dejun. Doza de început este în mod obișnuit de 15 mg pe kilogram de greutate corporală, utilizând concentrațiile cele mai adecvate (100 sau 1 000 mg) pentru a obține doza, împărțind dacă este nevoie comprimatul de 1 000 mg în sferturi (250 mg). Doza se ajustează în funcție de răspunsul la tratament, doza uzuală fiind între 15 și 30 mg pe kilogram de greutate corporală pe zi. În cazuri excepționale, se pot administra doze de până la 35 mg pe kilogram de greutate corporală pe zi, cu condiția ca pacientului să i se facă analize de sânge pentru urmărirea efectelor secundare. La pacienții care nu răspund la această doză sau care prezintă efecte secundare, administrarea medicamentului trebuie oprită sau suspendată. La pacienții cu probleme renale ușoare sau moderate, doza de Siklos trebuie redusă. Pentru mai multe informații, consultați prospectul.

Cum acționează Siklos?

Substanța activă din Siklos, hidroxycarbamida, împiedică creșterea și reproducerea anumitor celule, cum sunt celulele sanguine. Deși modalitatea exactă în care hidroxycarbamida acționează în această boală nu este pe deplin înțeleasă, ea poate reduce numărul de celule care circulă în sânge și poate împiedica modificarea formei celulelor roșii din sânge la pacienții cu siclemie. Aceasta reduce riscul blocării vaselor sanguine.

Hidroxycarbamida, cunoscută anterior sub numele de hidroxiuree, este disponibilă în Uniunea Europeană (UE) de câteva decenii pentru administrarea în tratamentul altor boli, inclusiv a câtorva tipuri de cancer.

Cum a fost studiat Siklos?

Deoarece hidroxycarbamida este o substanță bine cunoscută, deja utilizată în componența altor medicamente, compania a utilizat date preluate din literatura științifică pentru a sprijini administrarea Siklos în tratarea adulților și copiilor cu siclemie. Compania a prezentat, în mod special, dovada eficacității Siklos preluată din 11 studii publicate care au cuprins 378 de copii și din trei registre naționale care conțin informații referitoare la 155 de copii cu siclemie care au fost tratați cu Siklos pe o perioadă de până la 7 ani. A mai prezentat dovezi dintr-un studiu efectuat pe 299 de adulți, în care efectele Siklos au fost comparate cu cele ale placebo (un tratament inactiv), precum și rezultatele altor studii care au cuprins 430 de adulți și dintr-un registru național de informații privind 123 de adulți tratați cu Siklos. Studiile au comparat numărul de crize vaso-ocluzive dinainte și de după tratamentul cu Siklos, caracterizate prin orice fel de episod dureros, localizat la brațe, picioare, abdomen, spate sau piept.

Ce beneficii a prezentat Siklos pe parcursul studiilor?

Pacienții au avut mai puține crize vaso-ocluzive în timpul tratamentului cu Siklos decât înainte, frecvența lor scăzând cu 66% până la 80% la copii și adulți. Numărul cazurilor de sindrom toracic acut a scăzut, de asemenea, cu 25% - 33%. De asemenea, s-a înregistrat o scădere a numărului de internări în spital și mai puține zile de spitalizare. Efectele s-au menținut timp de până la 7 ani. În studiul care a comparat Siklos cu placebo la adulți, au existat mai puține crize vaso-ocluzive la pacienții care au luat Siklos (2,5 crize pe an) decât la cei care au luat placebo (4,5 crize pe an).

Care sunt riscurile asociate cu Siklos?

Cel mai frecvent efect secundar asociat cu Siklos (observat la mai mult de 1 pacient din 10) este supresia funcției măduvei osoase, care cauzează neutropenie (valori scăzute de neutrofile, un tip de celule albe ale sângelui), reticulocitopenie (valori scăzute de reticulocite, un tip de celule roșii imature din sânge) și macrocitoză (mărirea celulelor roșii din sânge). Pacienții care iau Siklos trebuie să facă analize de sânge înainte de tratament și, cu regularitate, în timpul tratamentului, pentru a controla numărul de celule sanguine și pentru a monitoriza rinichii și ficatul. Numărul de celule sanguine revine la normal, de regulă, în decurs de două săptămâni după oprirea tratamentului cu Siklos. La bărbații tratați cu Siklos, de obicei, se observă frecvent și oligospermie sau azoospermie reversibilă (producție redusă sau absentă de spermă sănătoasă). Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Siklos, consultați prospectul.

Siklos este contraindicat la persoane care au probleme grave cu rinichii sau ficatul sau care prezintă un număr de celule roșii în sânge periculos de mic. În timpul tratamentului cu Siklos, trebuie întrerupt alăptatul. Pentru lista completă de restricții, consultați prospectul.

De ce a fost aprobat Siklos?

CHMP a hotărât că beneficiile Siklos sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

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

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Siklos să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Siklos au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți. De asemenea, compania care produce Siklos va furniza medicilor și pacienților pachete cu informații privind siguranța acestui medicament.

Alte informații despre Siklos

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Siklos, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 29 iunie 2007.

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

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

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 03-2014.