



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19. júna 2025
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Výsledok posúdenia používania lieku Revolade pri liečbe ťažkej aplastickej anémie u detí

Európska agentúra pre lieky dokončila svoje posúdenie žiadosti o rozšírenie používania lieku Revolade na deti s ťažkou aplastickou anémiou (SAA). Hoci agentúra EMA toto použitie neodporučila, súhlasila s tým, aby sa príslušné údaje zo štúdie predloženej spolu so žiadosťou zahrnuli do informácií o lieku a zdravotnícki pracovníci mali tak prístup k aktuálnym údajom o účinkoch lieku Revolade u osôb so SAA.

Čo je liek Revolade a na čo sa používa?

Liek Revolade sa používa na liečbu:

- primárnej imunitnej trombocytopénie (ITP), choroby, pri ktorej imunitný systém pacienta ničí krvné doštičky (zložky krvi, ktoré jej pomáhajú pri zrážaní). Pacienti s ITP majú nízky počet krvných doštičiek (trombocytopénia) a hrozí im riziko krvácania. Liek Revolade sa používa u pacientov vo veku od jedného roka, u ktorých liečba liekmi, ako sú napríklad kortikosteroidy alebo imunoglobulíny nebola účinná. U detí a dospelavajúcich sa liek používa, keď touto chorobou trpia už najmenej šesť mesiacov;
- trombocytopénie u dospelých s chronickou (dlhodobou) hepatitídou C, chorobou pečene spôsobenou vírusom hepatitídy C. Liek Revolade sa používa, ak je trombocytopénia príliš závažná na to, aby bolo možné použiť liečbu založenú na interferóne (druh liečby na hepatitídu C);
- získanej ťažkej aplastickej anémie (choroby, pri ktorej kostná dreň nevytvára dostatočné množstvo krviniek alebo krvných doštičiek). Získaným ochorením sa rozumie ochorenie, ktoré nie je dedičné. Liek Revolade sa používa u dospelých, ktorých ochorenie nie je kontrolované imunosupresívnou liečbou (liekmi, ktoré znižujú imunitu tela) a ktorí nemôžu podstúpiť transplantáciu krvotvorných kmeňových buniek (postup, pri ktorom je kostná dreň pacienta nahradená kmeňovými bunkami od darcu na vytvorenie novej kostnej drene).

Liek Revolade je v EÚ povolený od marca 2010. Liek obsahuje liečivo eltrombopag a je k dispozícii vo forme tabliet a prášku na prípravu suspenzie (tekutiny) na perorálne použitie.

Viac informácií o súčasných použitíach lieku Revolade sa nachádza na webovej stránke agentúry: 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



O akú zmenu spoločnosť požiadala?

Spoločnosť požiadala o rozšírenie používania lieku Revolade na deti vo veku od 2 rokov so SAA, ktorých ochorenie nie je kontrolované imunosupresívnou liečbou alebo sa po nej vrátilo a ktoré nemôžu podstúpiť transplantáciu krvotvorných kmeňových buniek.

Akým spôsobom liek Revolade účinkuje?

V ľudskom tele prirodzený hormón nazývaný trombopoetín stimuluje tvorbu krvných doštičiek, a to tak, že sa naviaže na určité receptory (ciele) v kostnej dreni a aktivuje ich. Liečivo lieku Revolade, eltrombopag, podobne ako trombopoetín, sa viaže aj na trombopoetínové receptory a stimuluje ich. Tým sa zvyšuje tvorba krvných doštičiek, ako aj ich počet a znižuje sa riziko krvácania. U niektorých pacientov so SAA môže liek Revolade tiež zvýšiť tvorbu krvných buniek. Predpokladá sa, že u detí vo veku od 2 rokov s ťažkou aplastickou anémiou bude liek Revolade účinkovať rovnakým spôsobom ako u dospelých s týmto ochorením.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky prebiehajúcej hlavnej štúdie zahŕňajúcej 51 detí vo veku od 2 rokov so SAA, ktoré nemohli podstúpiť transplantáciu krvotvorných kmeňových buniek. V tejto štúdii 37 detí nedostalo predchádzajúcu liečbu a 14 detí dostalo imunosupresívnu liečbu, ale ich ochorenie nebolo kontrolované alebo sa vrátilo. Všetkým deťom sa podával liek Revolade v kombinácii s imunosupresívnou liečbou počas 26 týždňov. Liek sa neporovnával so žiadnou inou liečbou ani s placebom (zdanlivým liekom). Hlavným cieľom štúdie bolo posúdiť, ako sa liek Revolade správa u detí. Sekundárnymi cieľmi bolo posúdiť bezpečnosť a účinnosť lieku.

Aké boli závery agentúry EMA?

Agentúra EMA konštatovala, že hoci z výsledkov štúdie predloženej žiadateľom vyplýva, že liečba liekom Revolade by mohla byť pre deti so SAA prínosom, len 14 pacientov v štúdii spĺňalo kritériá zamýšľaného použitia. Tento počet sa považoval za primárny na vyvodenie jednoznačných záverov o účinnosti a bezpečnosti lieku Revolade u týchto detí.

Agentúra EMA preto dospela k záveru, že bezpečnosť a účinnosť lieku Revolade u detí so SAA neboli dostatočne stanovené a že použitie lieku u týchto pacientov nemá byť povolené. Informácie o predpisovaní lieku Revolade sa však budú aktualizovať tak, aby obsahovali príslušné údaje a zdravotnícki pracovníci mali prístup k aktuálnym údajom o účinkoch lieku Revolade u detí s ťažkou aplastickou anémiou.

Má stiahnutie žiadosti nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že štúdia lieku Revolade u detí s ťažkou aplastickou anémiou bola dokončená nedávno a že u týchto detí neprebiehajú žiadne ďalšie štúdie.