

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Nplate romiplostim

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Nplate. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Nplate.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Nplate, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Nplate a na čo sa používa?

Liek Nplate sa používa u pacientov od jedného roka s dlhodobou imunitnou trombocytopenickou purpurou (ITP), čo je ochorenie, pri ktorom imunitný systém pacienta ničí krvné doštičky (zložky v krvi, ktoré pomáhajú pri jej zrážaní). Pacienti s ITP majú nízky počet krvných doštičiek a hrozí im riziko krvácania.

Liek Nplate sa používa v prípade, že liečba určitými liekmi, napríklad kortikosteroidmi alebo imunoglobulínmi, nie je účinná. Liek Nplate možno použiť u pacientov s odstránenou slezinou na kontrolu ochorenia aj u pacientov, ktorí majú slezinu. Slezina, orgán za žalúdkom, sa podieľa na odstraňovaní krvných doštičiek z krvi.

Keďže je počet pacientov s ochorením ITP nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Nplate 27. mája 2005 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Liek Nplate obsahuje účinnú látku romiplostim.

Ako sa liek Nplate používa?

Výdaj lieku Nplate je viazaný na lekársky predpis a na liečbu týmto liekom má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou porúch krvi.

Liek Nplate je prášok, z ktorého sa pripravuje injekčný roztok. Liek sa podáva jedenkrát týždenne vo forme podkožnej injekcie. Začiatková dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta a následne sa upravuje tak, aby sa počet krvných doštičiek udržiaval na cieľových hladinách. Ak sa počet krvných doštičiek nezvýši dostatočne na to, aby sa po štyroch týždňoch liečby maximálnou dávkou Nplate znížilo riziko krvácania, liečba sa má zastaviť. Dospelí, u ktorých je hladina krvných doštičiek stabilná, si môžu liek po náležitom zaškolení vpichovať sami.

Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Nplate účinkuje?

Účinná látka lieku Nplate, romiplostim, stimuluje tvorbu krvných doštičiek. Hormón nazývaný trombopoetín v tele za normálnych okolností stimuluje tvorbu krvných doštičiek v kostnej dreni. Romiplostim je vytvorený tak, že sa naviaže na rovnaké ciele (receptory) ako trombopoetín a stimuluje ich. Romiplostim napodobovaním účinku trombopoetínu stimuluje tvorbu krvných doštičiek, a tým zvyšuje ich počet a znižuje riziko krvácania.

Aké prínosy lieku Nplate boli preukázané v štúdiách?

V dvoch hlavných štúdiách zahŕňajúcich dospelých a v tretej štúdii zahŕňajúcej deti sa preukázala účinnosť lieku Nplate pri liečbe dlhodobej ITP. Vo všetkých štúdiách sa liek Nplate porovnával s placebo (zdanlivým liekom). Pacienti boli liečení počas 24 týždňov a hlavným meradlom účinnosti bolo zvýšenie počtu krvných doštičiek nad prahovú hodnotu 50 miliónov krvných doštičiek na mililiter krvi počas najmenej šiestich z ôsmich týždňov liečby. Pri počte krvných doštičiek nižšom ako 30 miliónov na mililiter sú pacienti vystavení riziku krvácania, zatiaľ čo normálny počet je 150 až 400 miliónov na mililiter.

Prvá štúdia zahŕňala 63 pacientov, u ktorých nebolo ochorenie kontrolované napriek odstráneniu sleziny. Počet krvných doštičiek sa zvýšil nad prahovú hodnotu u 38 % pacientov používajúcich liek Nplate (16 zo 42) v porovnaní so žiadnym z 21 pacientov používajúcich placebo.

Druhá štúdia zahŕňala 62 pacientov, ktorí boli v minulosti liečení na ITP (ale ktorí nemali odstránenú slezinu). Počet krvných doštičiek sa zvýšil nad prahovú hodnotu u 61 % pacientov používajúcich liek Nplate (25 zo 41) v porovnaní s 5 % pacientov používajúcich placebo (1 z 21).

Štúdia u detí zahŕňala 62 pacientov od jedného roka do menej ako 18 rokov, ktorí boli v minulosti liečení na ITP (vrátane niekoľkých detí s odstránenou slezinou). Počet krvných doštičiek sa zvýšil nad prahovú hodnotu u 52 % pacientov používajúcich liek Nplate (22 zo 42) v porovnaní s 10 % pacientov používajúcimi placebo (2 z 20).

V dlhodobých štúdiách zahŕňajúcich vyše 1 000 pacientov, pričom niektorí boli liečení dlhšie ako päť rokov, sa potvrdilo, že liek Nplate je naďalej účinný u pacientov s odstránenou slezinou aj u pacientov, ktorí majú slezinu.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Nplate?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Nplate u dospelých (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) zahŕňajú bolesť hlavy, infekcie nosa a hrdla a alergické reakcie (reakcie z precitlivenosti), ako je vyrážka, svrbenie a rýchly opuch pod kožou. Najčastejšie vedľajšie účinky u detí zahŕňajú infekcie nosa a hrdla, nádchu, kašeľ, horúčku, bolesť v ústach a hrdle, abdominálnu (brušnú) bolesť, hnačku, vyrážku a modriny. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Nplate sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Nplate nesmú používať osoby, ktoré sú precitlivené (alergické) na romiplostim, na iné zložky lieku alebo na proteíny, ktoré vytvára baktéria *Escherichia coli*.

Prečo bol liek Nplate povolený?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Nplate sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a odporučila udeliť povolenie na uvedenie na trh.

Agentúra konštatovala, že liek Nplate je účinný u pacientov s odstránenou slezinou, ako aj u pacientov, ktorí majú slezinu. Zlepšenie počtu krvných doštičiek bolo v oboch skupinách dlhodobé a klinicky významné, hoci liečba len zmierňuje príznaky, ale neuzdravuje. U pacientov s intaktnou slezinou je preto potrebné pravidelne posudzovať možnosť odstránenia sleziny.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Nplate?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Nplate na trh, poskytne lekárom tzv. kalkulátor dávkovania na pomoc pri výpočte niekedy veľmi malého objemu lieku Nplate, ktorý sa má injikovať. Lekári môžu dostať aj vzdelávací balíček s informáciami o podávaní lieku v domácom prostredí, ktorý obsahuje materiály, ako zaškoliť pacientov, ktorí si budú liek Nplate vpichovať doma, a materiály pre pacientov o príprave lieku na podanie injekcie.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Nplate boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Nplate

Dňa 4. februára 2009 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Nplate na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Nplate sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Nplate, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Nplate sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 12-2017