



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Siklos

hydroxykarbamid

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Siklos. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Siklos.

Čo je liek Siklos?

Siklos je liek, ktorý obsahuje účinnú látku hydroxykarbamid. Je dostupný vo forme tabliet (100 mg a 1 000 mg). 1 000 mg tableta má špeciálne deliace ryhy, aby sa dala ľahko rozdeliť na štyri rovnaké časti.

Na čo sa liek Siklos používa?

Liek Siklos sa používa u dospelých, dospievajúcich a detí starších ako 2 roky so syndrómom kosáčikovitých buniek, čo je genetická choroba, pri ktorej sa červené krvinky stávajú nepružné a lepkavé a menia svoj tvar z okrúhleho na kosáčikovitý (ako polmesiac). Liek sa používa na predchádzanie vzniku opakovaných, bolestivých vazookluzívnych kríz, ku ktorým dochádza vtedy, keď sú krvné cievy zablokované abnormálnymi červenými krvinkami obmedzujúcimi tok krvi do orgánu. Môžu zahŕňať akútny hrudný syndróm, čo je stav ohrozujúci život, pri ktorom pacient pocíti náhlu bolesť na hrudníku, objaví sa horúčka, ťažkosti pri dýchaní alebo sa pozorujú známky prítomnosti tekutiny v pľúcach na röntgenovom snímku.

Keďže počet pacientov so syndrómom kosáčikovitých buniek je nízky, toto ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Siklos 9. júla 2003 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Siklos užíva?

Liečbu liekom Siklos má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou syndrómu kosáčikovitých buniek.



Liek Siklos sa užíva raz denne, najlepšie ráno pred raňajkami. Úvodná dávka je zvyčajne 15 mg na kilogram telesnej hmotnosti, pričom sa na dosiahnutie potrebnej dávky používajú tablety v čo najvhodnejšej sile (100 alebo 1 000 mg). Ak je to potrebné, 1 000 mg tabletu možno rozdeliť na štvrtiny (250 mg). Dávka sa upravuje podľa odpovede na liečbu, pričom zvyčajná denná dávka je v rozsahu 15 až 30 mg na kilogram telesnej hmotnosti. V mimoriadnych prípadoch sa môžu použiť denné dávky až do 35 mg na kilogram telesnej hmotnosti, pokiaľ je krv pacienta sledovaná vzhľadom na vedľajšie účinky lieku. V prípade pacientov, ktorí neodpovedajú na túto dávku alebo u ktorých sa prejavujú vedľajšie účinky, sa liečba možno bude musieť zastaviť alebo prerušiť. Dávka lieku Siklos sa má znížiť u pacientov, ktorí majú mierne alebo stredne závažné problémy s obličkami. Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Akým spôsobom liek Siklos účinkuje?

Účinná látka lieku Siklos, hydroxykarbamid, blokuje rast a reprodukciu niektorých buniek, napríklad krviniek. Hoci nie je známy presný spôsob, ako liek účinkuje pri tejto chorobe, hydroxykarbamid môže znižovať počet buniek, ktoré sú v krvnom obeh, a v prípade pacientov so syndrómom kosáčikovitých buniek môže zabrániť červeným krvinkám, aby zmenili tvar. Tým sa zníži riziko zablokovania krvných ciev.

Hydroxykarbamid, ktorý je známy ako hydroxyurea, je dostupný v Európskej únii (EÚ) niekoľko desaťročí na použitie pri iných chorobách vrátane niektorých typov rakoviny.

Ako bol liek Siklos skúmaný?

Keďže hydroxykarbamid je dobre známa látka, ktorá sa už používa v iných liekoch, spoločnosť použila údaje z odbornej literatúry na podporu používania lieku Siklos v prípade dospelých a detí so syndrómom kosáčikovitých buniek. Spoločnosť predložila dôkazy o účinnosti lieku Siklos z 11 publikovaných štúdií, ktoré zahŕňali 378 detí, a z troch národných registrov informácií o 155 deťoch so syndrómom kosáčikovitých buniek, ktoré boli liečené liekom Siklos až sedem rokov. Spoločnosť predložila aj výsledky jednej štúdie s 299 dospelými pacientmi, v rámci ktorej sa účinky lieku Siklos porovnávali s účinkami placeba (zdanlivého lieku), ako aj výsledky ďalšej štúdie so 430 dospelými pacientmi a jeden národný register informácií o 123 dospelých, ktorí boli liečení liekom Siklos. V týchto štúdiách sa porovnával počet vazookluzívnych kríz pred liečbou a po liečbe liekom Siklos, ktoré boli definované ako akákoľvek bolestivá epizóda týkajúca sa rúk, nôh, brucha, chrbta alebo hrudníka.

Aký prínos preukázal liek Siklos v týchto štúdiách?

Pacienti liečení liekom Siklos mali menej vazookluzívnych kríz po liečbe než pred liečbou, pričom frekvencia klesla o 66 % až 80 % u detí a dospelých. Počet prípadov akútneho hrudného syndrómu sa takisto znížil o 25 % až 33 %. Tiež bolo hospitalizovaných menej pacientov a počet dní strávených v nemocnici sa znížil. Účinky liečby pretrvávali až sedem rokov. V štúdii, v ktorej sa porovnával liek Siklos s placebom u dospelých, sa u pacientov, ktorí užívali liek Siklos, vyskytlo menej vazookluzívnych kríz (2,5 krízy za rok) ako u tých, ktorí dostávali placebo (4,5 krízy za rok).

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Siklos?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Siklos (pozorované u viac než 1 pacienta z 10) sú supresia kostnej drene, spôsobujúca neutropéniu (nízke hladiny neutrofilov, čo je typ bielych krviniek), retikulocytopenia (nízke hladiny retikulocytov, čo je typ nezrelých červených krviniek) a makrocytóza (zväčšenie červených krviniek). Pacienti užívajúci liek Siklos majú absolvovať krvné testy pred liečbou a pravidelne počas liečby, aby sa kontroloval počet krviniek a sledovala funkcia obličiek a pečene. Počet krviniek sa

za bežných okolností vráti na normálnu úroveň do dvoch týždňov od zastavenia liečby liekom Siklos. U mužov liečených liekom Siklos sa veľmi často pozorovala reverzibilná oligospermia, resp. azoospermia (znížená alebo chýbajúca produkcia zdravých spermií). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Siklos sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Liek Siklos nesmú užívať osoby so závažnými problémami s obličkami alebo s pečenou, ani osoby, ktoré majú nebezpečne nízky počet krviniek. Počas liečby liekom Siklos treba prestať dojčiť. Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Prečo bol liek Siklos povolený?

Výbor CHMP rozhodol, že prínosy lieku Siklos sú väčšie než riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na uvedenie na trh.

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

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Siklos bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľov zahrnuté informácie o bezpečnosti o lieku Siklos vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať. Spoločnosť, ktorá vyrába liek Siklos, poskytne pre lekárov a pacientov aj informačné balíčky, v ktorých sú uvedené informácie o bezpečnosti lieku.

Ďalšie informácie o lieku Siklos

Dňa 29. júna 2007 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Siklos na trh platné v celej Európskej únii.

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

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

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 03-2014