



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezultat ocene uporabe zdravila Revolade pri zdravljenju hude aplastične anemije pri otrocih

Evropska agencija za zdravila je zaključila oceno vloge za razširitev uporabe zdravila Revolade na otroke s hudo aplastično anemijo. Čeprav EMA te uporabe ni priporočila, se je strinjala, da se ustrezni podatki iz študije, predložene skupaj z vlogo, vključijo v informacije o zdravilu, da bodo imeli zdravstveni delavci dostop do posodobljenih podatkov o učinkih zdravila Revolade pri osebah s hudo aplastično anemijo.

Kaj je zdravilo Revolade in za kaj se uporablja?

Zdravilo Revolade se uporablja za zdravljenje:

- primarne imunske trombocitopenije, tj. bolezni, pri kateri bolnikov imunski sistem uničuje trombocite (sestavino krvi, ki sodeluje pri njenem strjevanju). Bolniki z imunsko trombocitopenijo imajo nizko število trombocitov v krvi (trombocitopenijo) in povečano tveganje za krvavitve. Zdravilo Revolade se uporablja pri bolnikih, starejših od enega leta, pri katerih zdravljenje z zdravili, kot so kortikosteroidi ali imunoglobulini, ni učinkovalo. Pri otrocih in mladostnikih se zdravilo uporablja, kadar bolezen traja šest mesecev ali več;
- trombocitopenije pri odraslih s kroničnim (dolgotrajnim) hepatitisom C, tj. boleznijo jeter, ki jo povzroča okužba z virusom hepatitisa C. Zdravilo Revolade se uporablja, kadar je trombocitopenija prehuda, da bi dovoljevala zdravljenje z interferonom (vrsto zdravljenja hepatitisa C);
- pridobljene hude aplastične anemije (bolezni, pri kateri kostni mozeg ne tvori dovolj krvnih celic ali trombocitov). Pridobljena pomeni, da bolezen ni podedovana. Zdravilo Revolade se uporablja pri odraslih bolnikih, katerih bolezen ni nadzorovana z imunosupresivno terapijo (zdravili, ki znižujejo imunsko obrambo telesa) in ne morejo prejeti presaditve hematopoetskih matičnih celic (pri kateri se bolnikov kostni mozeg nadomesti z izvornimi celicami darovalca, ki tvorijo nov kostni mozeg).

Zdravilo Revolade je v EU odobreno od marca 2010. Vsebuje učinkovino eltrombopag ter je na voljo v obliki tablet in praška za pripravo suspenzije (tekočine) za peroralno uporabo.

Več informacij o trenutnih uporabah zdravila Revolade je na voljo na spletišču agencije:

ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.



Za katero spremembo je zaprosilo podjetje?

Podjetje je zaprosilo za razširitev uporabe zdravila Revolade na otroke, stare dve leti in več, s hudo aplastično anemijo, pri katerih bolezen ni nadzorovana z imunosupresivnim zdravljenjem ali se je po njem ponovila in ki ne morejo prejeti presaditve hematopoetskih matičnih celic.

Kako zdravilo Revolade deluje?

V telesu naravni hormon, imenovan trombopoetin, spodbuja nastajanje trombocitov tako, da se veže na določene receptorje (prijemališča) v kostnem mozgu in jih aktivira. Tako kot trombopoetin se tudi učinkovina v zdravilu Revolade, eltrombopag, veže na receptorje trombopoetina in v njih povzroči enak spodbujevalni učinek. To poveča nastajanje trombocitov, izboljša število trombocitov in zmanjša tveganje za krvavitve. Pri nekaterih bolnikih s hudo aplastično anemijo lahko zdravilo Revolade poveča tudi nastajanje krvnih celic. Pri otrocih, starih dve leti in več, s hudo aplastično anemijo naj bi zdravilo Revolade delovalo enako kot pri odraslih s to boleznijo.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo rezultate potekajoče glavne študije, v katero je vključenih 51 otrok, starih dve leti in več, s hudo aplastično anemijo, ki niso mogli prejeti presaditve hematopoetskih matičnih celic. V tej študiji 37 otrok predhodno ni bilo zdravljenih, 14 otrok pa je prejelo imunosupresivno zdravljenje, vendar njihova bolezen ni bila nadzorovana ali se je ponovila. Vsi otroci so 26 tednov prejeli zdravilo Revolade v kombinaciji z imunosupresivno terapijo. Zdravila niso primerjali z nobenim drugim zdravilom ali placebom (zdravilom brez učinkovine). Glavni cilj študije je bil oceniti, kako zdravilo Revolade deluje pri otrocih. Sekundarni cilji so vključevali oceno varnosti in učinkovitosti zdravila.

Kakšni so bili zaključki agencije EMA?

Agencija EMA je ugotovila, da čeprav rezultati študije, ki jo je predložil vložnik, kažejo, da bi lahko imeli otroci s hudo aplastično anemijo koristi od zdravljenja z zdravilom Revolade, je le 14 bolnikov v študiji ustrezalo predvideni uporabi. To število je bilo ocenjeno kot premajhno za trdne zaključke o učinkovitosti in varnosti zdravila Revolade pri teh otrocih.

Agencija EMA je zato zaključila, da varnost in učinkovitost zdravila Revolade pri otrocih s hudo aplastično anemijo nista bili zadostno dokazani in da se pri teh bolnikih ne sme odobriti. Kljub temu bodo informacije o predpisovanju zdravila Revolade posodobljene z ustreznimi podatki, da bodo imeli zdravstveni delavci dostop do najnovejših podatkov o učinkih zdravila Revolade pri otrocih s hudo aplastično anemijo.

Kakšne so posledice zavrnitve za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Podjetje je agencijo obvestilo, da je bila študija zdravila Revolade pri otrocih s hudo aplastično anemijo pred kratkim zaključena in da pri teh otrocih ne potekajo nobene druge študije.