

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

Povzetek EPAR za javnost

Nplate

romiplostim

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Nplate. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Nplate naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Nplate in za kaj se uporablja?

Zdravilo Nplate se uporablja pri bolnikih, starejših od enega leta, s kronično imunsko trombocitopenično purpuro (ITP), tj. boleznijo, pri kateri bolnikov imunski sistem uničuje trombocite (sestavino krvi, ki sodeluje pri njenem strjevanju). Bolniki z imunsko trombocitopenično purpuro imajo nizko število trombocitov in povečano tveganje za krvavitve.

Zdravilo Nplate se uporablja, kadar zdravljenje z zdravili, kot so kortikosteroidi ali imunoglobulini, ni bilo učinkovito. Uporablja se lahko pri bolnikih z odstranjeno vranico, da bi se bolezen nadzorovala, in pri tistih, ki jo še imajo. Vranica, organ za želodcem, sodeluje pri odstranjevanju trombocitov iz krvi.

Ker je bolnikov z imunsko trombocitopenično purpuro malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Nplate 27. maja 2005 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Zdravilo Nplate vsebuje učinkovino romiplostim.

Kako se zdravilo Nplate uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Nplate je le na recept, zdravljenje z njim pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem krvnih bolezni.

Zdravilo Nplate je prašek za pripravo raztopine za injiciranje. Daje se enkrat tedensko kot injekcija v podkožje. Začetni odmerek je odvisen od telesne mase bolnika, nato pa ga je treba za ohranjanje števila trombocitov na ciljni ravni prilagoditi. Zdravljenje z zdravilom Nplate je treba po štirih tednih

zdravljenja z največjim odmerkom prekiniti, če se število trombocitov ne poveča dovolj, da bi se zmanjšalo tveganje za krvavitev. Odrasli, pri katerih je število trombocitov stabilno, si lahko zdravilo injicirajo sami, potem ko so bili za to ustrezno usposobljeni.

Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Nplate deluje?

Učinkovina v zdravilu Nplate, romiplostim, spodbuja nastajanje trombocitov. V telesu nastajanje trombocitov v kostnem mozgu običajno spodbuja hormon, imenovan „trombopoetin“. Romiplostim je bil zasnovan za vezavo in spodbujanje istih tarč (receptorjev) kot trombopoetin. S posnemanjem delovanja trombopoetina ta spodbuja nastajanje trombocitov ter tako poveča njihovo število v krvi in zmanjša tveganje za krvavitev.

Kakšne koristi je zdravilo Nplate izkazalo v študijah?

Dve glavni študiji pri odraslih in tretja pri otrocih so pokazale, da je zdravilo Nplate učinkovito pri zdravljenju kronične imunske trombocitopenične purpure. V vseh študijah so zdravilo Nplate primerjali s placebom (zdravilom brez učinkovine). Bolniki so bili zdravljeni 24 tednov, glavno merilo učinkovitosti pa je bilo povečanje števila trombocitov nad prag 50 milijonov trombocitov na mililiter krvi v vsaj šestih od zadnjih osmih tednov zdravljenja. Pri številu trombocitov, ki je manjše od 30 milijonov na mililiter, so bolniki izpostavljeni tveganju za pojav krvavitve, normalno število trombocitov pa se giblje od 150 do 400 milijonov na mililiter.

V prvo študijo je bilo vključenih 63 bolnikov, pri katerih bolezen kljub odstranitvi vranice ni bila nadzorovana. Število trombocitov se je zvišalo nad prag pri 38 % bolnikov, ki so prejeli zdravilo Nplate (16 od 42), v primerjavi z nobenim od 21 bolnikov, ki so prejeli placebo.

V drugo študijo je bilo vključenih 62 bolnikov, pri katerih so imunske trombocitopenične purpure predhodno zdravili (niso pa jim odstranili vranice). Število trombocitov se je zvišalo nad prag pri 61 % (25 od 41) bolnikov, ki so prejeli zdravilo Nplate, v primerjavi s 5 % (1 od 21) bolnikov, ki so prejeli placebo.

V študijo pri otrocih je bilo vključenih 62 bolnikov, starih od enega leta do manj kot 18 let, pri katerih je bila imunska trombocitopenična purpura že zdravljena (vključno z nekaterimi bolniki, pri katerih je bila odstranjena vranica). Število trombocitov se je zvišalo nad prag pri 52 % (22 od 42) bolnikov, ki so prejeli zdravilo Nplate, v primerjavi z 10 % (2 od 20) bolnikov, ki so prejeli placebo.

Dolgoročne študije, v katere je bilo vključenih čez 1 000 bolnikov, od katerih so se nekateri zdravili več kot pet let, so potrdile, da je zdravilo Nplate ostalo učinkovito pri bolnikih, pri katerih je bila vranica odstranjena, in pri tistih, ki so vranico še vedno imeli.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Nplate?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Nplate pri odraslih (opaženi pri več kot 1 bolniku od 10) so glavobol, okužbe nosu in žrela ter alergijske (preobčutljivostne) reakcije, npr. izpuščaj, srbenje in hitro podkožno otekanje. Najpogostejši neželeni učinki pri otrocih so okužbe nosu in žrela, izcedek iz nosu, kašelj, vročina, bolečina v ustih in žrelu, abdominalna (trebušna) bolečina, driska, izpuščaj in podplutbe. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Nplate, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Nplate ne smejo uporabljati osebe, ki so preobčutljive za (alergične na) romiplostim, katero koli drugo sestavino zdravila ali beljakovine, ki jih tvori bakterija *Escherichia coli*.

Zakaj je bilo zdravilo Nplate odobreno?

Evropska agencija za zdravila je sklenila, da so koristi zdravila Nplate večje od z njim povezanih tveganj, in priporočila, da se zanj izda dovoljenje za promet.

Menila je, da je bilo zdravilo Nplate učinkovito pri bolnikih, ki so jim vranico odstranili, pa tudi pri bolnikih, ki jim vranice niso odstranili. Povečanje števila trombocitov je bilo dolgotrajno in klinično pomembno pri obeh skupinah, čeprav to zdravljenje samo lajša simptome in bolezni ne ozdravi. Zato je treba pri bolnikih z nepoškodovano vranico občasno oceniti možnost za njeno odstranitev.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Nplate?

Družba, ki trži zdravilo Nplate, bo zdravnikom priskrbelo računalo za odmerjanje, ki jim bo pomagalo izračunati prostornino zdravila Nplate, ki jo je treba injicirati in ki je včasih zelo majhna. Zdravniki bodo prejeli tudi komplet za usposabljanje za uporabo na domu, ki vsebuje gradivo o tem, kako usposobiti bolnike, ki si bodo zdravilo Nplate sami injicirali, ter gradivo za bolnike o tem, kako pripraviti zdravilo za injiciranje.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Nplate upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Nplate

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Nplate, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 4. februarja 2009.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Nplate je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Nplate preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote za zdravilo Nplate je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 12-2017.