

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

Povzetek EPAR za javnost

Siklos

hidroksikarbamid

Ta dokument je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Siklos. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil to zdravilo, na podlagi česar je oblikoval mnenje za izdajo dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

Kaj je zdravilo Siklos?

Siklos je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino hidroksikarbamid. Na voljo je v obliki tablet (100 in 1 000 mg). 1 000–miligramska tableta ima posebne zareze, ki omogočajo enostavno razdelitev na štiri enake dele.

Za kaj se zdravilo Siklos uporablja?

Zdravilo Siklos se uporablja pri odraslih, mladostnikih in otrocih, starejših od dveh let, ki imajo srpastocelični sindrom, tj. gensko bolezen, pri kateri rdeče krvne celice postanejo toge in spremenijo obliko iz okroglo-ploščate v srpasto. Uporablja se za preprečevanje vazookluzivnih kriz, ki nastanejo, ko nenormalne rdeče krvne celice zamašijo krvne žile in s tem omejijo pretok krvi do organa. Vključujejo lahko akutni prsni sindrom, tj. življenjsko nevarno stanje, ko se pri bolniku pojavijo nenadne bolečine v prsih, vročina, oteženo dihanje ali znaki tekočine v pljučih pri rentgenskem slikanju.

Ker je bolnikov s srpastoceličnim sindromom malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Siklos dne 9. julija 2003 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Izdaja zdravila je le na recept.

Kako se zdravilo Siklos uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Siklos mora uvesti zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem srpastoceličnega sindroma.

Zdravilo Siklos se jemlje enkrat dnevno, po možnosti zjutraj pred zajtrkom. Začetni odmerek je običajno 15 mg na kilogram telesne mase, uporabi pa se najprimernejša jakost tablete (100 ali 1 000 mg) za pripravo odmerka, pri čemer se po potrebi 1 000–miligramska tableta zlomi na četrtnine (250 mg). Odmerek se prilagodi glede na odziv na zdravljenje, običajni odmerek pa je med 15 in 30 mg na kilogram telesne mase na dan. Odmerki do 35 mg na kilogram telesne mase na dan se smejo uporabljati le izjemoma, pri čemer se mora izvajati nadzor bolnikove krvi glede morebitnih neželenih učinkov. Pri bolnikih, ki se ne odzivajo na ta odmerek ali imajo neželene učinke, bo morda treba zdravljenje prenehati ali prekiniti. Pri bolnikih, ki imajo blage ali zmerne težave z ledvicami, bo odmerek zdravila Siklos morda treba zmanjšati. Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Siklos deluje?

Zdravilna učinkovina zdravila Siklos, hidroksikarbamid, zavira rast in reprodukcijo nekaterih celic, npr. krvnih celic. Čeprav natančen način delovanja hidroksikarbamida pri tej bolezni ni znan, lahko zmanjša število celic, ki krožijo v krvi, ter prepreči spreminjanje oblike rdečih krvnih celic pri bolnikih s srpastoceličnim sindromom. To zmanjša tveganje za zamašitev krvnih žil.

Hidroksikarbamid, nekdan znan kot hidroksisečnina, je v Evropski uniji (EU) že nekaj desetletij na voljo za uporabo pri drugih boleznih, vključno z nekaterimi vrstami raka.

Kako je bilo zdravilo Siklos raziskano?

Ker je hidroksikarbamid dobro znana učinkovina, ki se uporablja tudi v drugih zdravilih, je družba uporabila podatke iz znanstvene literature za podporo uporabe zdravila Siklos pri odraslih in otrocih s srpastoceličnim sindromom. Predstavila je predvsem dokaze o učinkovitosti zdravila Siklos iz 11 objavljenih študij s 378 otroki in treh nacionalnih registrov s podatki o 155 otrocih s srpastoceličnim sindromom, ki so zdravilo Siklos prejeli do sedem let. Predstavljeni so bili tudi podatki iz študije, ki je zajela 299 odraslih in primerjala učinke zdravila Siklos z učinki placeba (zdravila brez zdravilne učinkovine), kot tudi rezultati drugih študij, v katerih je sodelovalo 430 odraslih, ter podatki iz enega nacionalnega registra z informacijami o 123 odraslih, zdravljenih z zdravilom Siklos. V študijah so primerjali število vazookluzivnih kriz pred zdravljenjem z zdravilom Siklos in po njem, pri čemer so se te kazale z bolečimi epizodami v rokah, nogah, trebuhu, hrbtu ali prsnem košu.

Kakšne koristi je zdravilo Siklos izkazalo med raziskavami?

Bolniki, ki so prejeli zdravilo Siklos, so imeli po zdravljenju manj vazookluzivnih kriz kot pred njim, pri čemer se je njihova pogostnost pri otrocih in odraslih zmanjšala za 66 % do 80 %. Tudi število primerov akutnega prsnega sindroma se je zmanjšalo za 25 do 33 %. Zmanjšalo se je tudi število sprejemov v bolnišnico in bolnišničnih dni. Učinki so se ohranili do sedem let. V študiji, v kateri so pri odraslih primerjali zdravilo Siklos s placebom, so zabeležili manj vazookluzivnih kriz pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Siklos (2,5 krize na leto), kot pri tistih, ki so prejeli placebo (4,5 krize na leto).

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Siklos?

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Siklos (opažen pri več kot 1 bolniku od 10) je supresija kostnega mozga, ki povzroča nevtropenijo (nizke ravni nevtrofilcev, vrste belih krvnih celic), retikulocitopenijo (nizke ravni retikulocitov, vrste nezrelih rdečih krvnih celic) in makrocitozo (povečanje rdečih krvnih celic). Pri bolnikih, ki jemljejo zdravilo Siklos, je treba pred zdravljenjem in redno tudi med njim izvajati krvne preiskave za preverjanje števila krvnih celic ter spremljanje delovanja ledvic in jeter. Število krvnih celic se na normalno raven običajno vrne v dveh tednih po prenehanju zdravljenja z zdravilom Siklos. Pri moških, zdravljenih z zdravilom Siklos, sta zelo pogosto opaženi reverzibilni

oligospermija ali azospermija (zmanjšano ali odsotno nastajanje zdrave sperme). Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Siklos, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Siklos se ne sme uporabljati pri bolnikih, ki imajo resne težave z ledvicami ali jetri ali ki imajo nevarno nizke ravni krvnih celic. Med jemanjem zdravila Siklos je treba prenehati dojit. Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Siklos odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je zaključil, da so koristi zdravila Siklos večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj izda dovoljenje za promet.

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

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Siklos je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila Siklos in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki. Družba, ki izdeluje zdravilo Siklos, bo za zdravnike in bolnike pripravilo informativne brošure z informacijami o varnosti zdravila.

Druge informacije o zdravilu Siklos:

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Siklos, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 29. junija 2007.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Siklos je na voljo na spletni strani agencije ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Siklos je na voljo na spletni strani agencije ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Siklos preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 03-2014.