



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19 juni 2025
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Resultat av bedömningen av användningen av Revolade vid behandling av svår aplastisk anemi hos barn

Europeiska läkemedelsmyndigheten har slutfört sin bedömning av en ansökan om att utöka användningen av Revolade till att omfatta barn med svår aplastisk anemi (SAA). Även om EMA inte rekommenderade denna användning höll den med om att relevanta data från den studie som lämnats in tillsammans med ansökan bör ingå i läkemedlets produktinformation så att hälso- och sjukvårdspersonal har tillgång till aktuella uppgifter om effekterna av Revolade på personer med SAA.

Vad är Revolade och vad används det för?

Revolade används för att behandla

- Primär immuntrombocytopeni (ITP), en sjukdom som innebär att patientens immunsystem förstör blodplättarna (komponenter i blodet som hjälper blodet att levera sig). Patienter med ITP har ett lågt antal blodplättar (trombocytopeni) och löper risk för blödningar. Revolade ges till patienter från ett års ålder när behandling med läkemedel som kortikosteroider eller immunglobuliner inte har fungerat. Hos barn och ungdomar ska läkemedlet användas först när de har haft sjukdomen i minst 6 månader.
- Trombocytopeni hos vuxna med kronisk (långvarig) hepatit C, en leversjukdom som orsakas av hepatit C-virus. Revolade används när trombocytopenin är för allvarlig för att kunna behandlas med interferonbaserad terapi (en typ av behandling av hepatit C).
- Förvärvad SAA (en sjukdom där benmärgen inte bildar tillräckligt med blodkroppar eller blodplättar). Förvärvad innebär att sjukdomen inte är ärftlig. Revolade ges till vuxna vars sjukdom inte kontrolleras med immunsuppressiv terapi (läkemedel som försvagar kroppens immunförsvar) och som inte kan genomgå hematopoetisk stamcellstransplantation (när patientens benmärg ersätts av stamceller från en donator för att bilda ny benmärg).

Revolade har varit godkänt i EU sedan mars 2010. Det innehåller den aktiva substansen eltrombopag och finns som tablett och som ett pulver för att bereda en suspension (en vätska) som ska tas genom munnen.

Mer information om Revolades nuvarande användningar finns på EMA:s webbplats:

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

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Vilken ändring hade företaget ansökt om?

Företaget ansökte om att utöka användningen av Revolade till barn från två års ålder med SAA vars sjukdom inte kontrolleras av eller har återkommit efter immunsuppressiv behandling och som inte kan genomgå hematopoetisk stamcellstransplantation.

Hur verkar Revolade?

I kroppen stimulerar ett naturligt hormon, trombopoetin, produktionen av blodplättar genom att det binder till och aktiverar vissa receptorer (mål) i benmärgen. Den aktiva substansen i Revolade, eltrombopag, binder också till trombopoietinreceptorer och stimulerar dem, på samma sätt som trombopoetin. Detta ökar produktionen av blodplättar, förbättrar antalet blodplättar och minskar risken för blödning. Hos vissa patienter med SAA kan Revolade också öka produktionen av blodkroppar. Hos barn från två års ålder med svår aplastisk anemi förväntas Revolade verka på samma sätt som hos vuxna med denna sjukdom.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in resultaten från en pågående huvudstudie på 51 barn i åldern två år och äldre med SAA som inte kunde genomgå hematopoetisk stamcellstransplantation. I studien hade 37 barn inte fått någon tidigare behandling, medan 14 hade fått immunsuppressiv behandling, men utan att deras sjukdom kontrollerades eller hade återkommit. Alla barn fick Revolade i kombination med immunsuppressiv behandling i 26 veckor. Läkemedlet jämfördes inte med någon annan behandling eller placebo (overksam behandling). Huvudsyftet med studien var att bedöma vilken verkan Revolade har på barn. Sekundära mål omfattade en bedömning av läkemedlets säkerhet och effekt.

Vilka slutsatser drog EMA?

EMA noterade att endast 14 patienter i studien matchade den avsedda användningen, trots att resultaten från den studie som sökanden lämnat in tyder på att barn med SAA skulle kunna dra nytta av behandling med Revolade. Detta antal ansågs för litet för att göra det möjligt att dra några säkra slutsatser om Revolades effekt och säkerhet hos dessa barn.

EMA fann därför att Revolades säkerhet och effekt inte är tillräckligt väl fastställd hos barn med SAA och att Revolade inte bör godkännas för dessa patienter. Förskrivningsinformationen för Revolade kommer dock att uppdateras så att den omfattar relevanta uppgifter, så att hälso- och sjukvårdspersonal får tillgång till aktuella uppgifter om Revolades effekter hos barn med SAA.

Påverkar detta resultat patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade myndigheten om att studien av Revolade på barn med SAA nyligen har slutförts och att inga andra studier pågår på dessa barn.