

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Nplate

romiplostim

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Nplate. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Nplate ska användas.

Praktisk information om hur Nplate ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Nplate och vad används det för?

Nplate ges till patienter från 1 års ålder med kronisk idiopatisk (immunologisk) trombocytopen purpura (ITP), en sjukdom som innebär att patientens immunsystem förstör trombocyterna (blodplättarna), som är de komponenter i blodet som hjälper blodet att levra sig. Patienter med ITP har lågt antal trombocyter och löper större risk för blödningar.

Nplate ges när behandling med läkemedel som kortikosteroider eller immunglobuliner inte har fungerat. Nplate kan både ges till patienter som fått mjälten bortopererad för att få sjukdomen under kontroll och till dem som har sin mjälte kvar. Mjälten, som är ett litet organ bakom magsäcken, deltar i avlägsnandet av trombocyter (blodplättar) från blodet.

Eftersom antalet patienter med ITP är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Nplate klassificerades som säriläkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 27 maj 2005.

Nplate innehåller den aktiva substansen romiplostim.

Hur används Nplate?

Nplate är receptbelagt och behandling med Nplate ska övervakas av en läkare som har erfarenhet av att behandla blodsjukdomar.

Nplate är ett pulver som bereds till injektionsvätska, lösning. Det ges en gång i veckan som en injektion under huden. Startdosen beror på patientens kroppsvikt och regleras därefter för att hålla trombocytantalet på den önskade nivån. Behandlingen ska avbrytas om trombocytantalet inte ökar tillräckligt för att minska risken för blödning efter 4 veckors behandling med den maximala dosen av Nplate. Vuxna med stabila trombocytnivåer kan ge sig själva läkemedlet efter att de fått lära sig hur man gör.

Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Nplate?

Den aktiva substansen i Nplate, romiplostim, stimulerar produktionen av trombocyter. I normala fall stimuleras trombocytproduktionen i kroppens benmärg av ett hormon som kallas "trombopoetin". Romiplostim har utformats för att binda till och stimulera samma mål (receptorer) som trombopoetin. Genom att efterlikna trombopoetins verkan stimulerar romiplostim trombocytproduktionen, och ökar därigenom antalet trombocyter och minskar risken för blödningar.

Vilken nytta med Nplate har visats i studierna?

Två huvudstudier på vuxna och en tredje som utfördes på barn fann att Nplate är effektivt när det gäller behandling av kronisk ITP. I samtliga studier jämfördes Nplate med placebo (en överksam behandling). Patienterna behandlades i 24 veckor och huvudeffekt måttet var ökningen av antalet trombocyter över ett tröskelvärde på 50 miljoner trombocyter per milliliter blod under minst 6 av de sista 8 veckornas behandling. Vid ett trombocytantal under 30 miljoner per milliliter riskerar patienterna blöda, medan normalantalet ligger på 150–400 miljoner per milliliter.

Den första studien utfördes på 63 patienter vars sjukdom inte kontrollerades trots att deras mjälte hade opererats bort. Trombocytantalet steg över tröskelvärdet hos 38 procent av patienterna som fick Nplate (16 av 42) jämfört med ingen av de 21 patienter som fick placebo.

I den andra studien ingick 62 patienter med tidigare behandlad ITP (men som inte fick sin mjälte bortopererad). Trombocytantalet steg över tröskelvärdet hos 61 procent av patienterna som fick Nplate (25 av 41) jämfört med 5 procent av dem som fick placebo (1 av 21).

I studien på barn ingick 62 patienter från 1 år upp till 18 år med tidigare behandlad ITP (inräknat vissa vars mjälte hade opererats bort). Trombocytantalet steg över tröskelvärdet hos 52 procent av patienterna som fick Nplate (22 av 42) jämfört med 10 procent av dem som fick placebo (2 av 20).

Långtidsstudier på över 1 000 patienter, där vissa behandlades längre än 5 år, bekräftade att Nplate fortfarande var effektivt både hos patienter som hade fått mjälten bortopererad och hos dem som hade den kvar.

Vilka är riskerna med Nplate?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Nplate hos vuxna (ses hos fler än 1 av 10 patienter) är huvudvärk, infektioner i näsan och allergiska (överkänslighets-) reaktioner såsom hudutslag, klåda och snabb svullnad under huden. De vanligaste biverkningarna hos barn är infektioner i näsan och halsen, rinnande näsa, hosta, feber, smärta i munnen och halsen, smärta i buken (magen), diarré, hudutslag och blåmärken. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Nplate finns i bipacksedeln.

Nplate får inte ges till personer som är överkänsliga (allergiska) mot romiplostim, något annat innehållsämne eller proteiner framställda av *Escherichia coli* (en bakterie).

Varför godkänns Nplate?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att nyttan med Nplate är större än riskerna och rekommenderade att Nplate skulle godkännas för försäljning.

EMA fann att Nplate var effektivt både hos patienter som hade fått mjälten bortopererad och hos patienter som inte hade fått den bortopererad. Förbättringen av trombocytantalet var långvarig och kliniskt relevant i båda grupperna, även om behandlingen bara verkar på symtomen och inte är botande. Möjligheten att operera bort mjälten hos patienter som har mjälten kvar bör därför omprövas med jämna mellanrum.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Nplate?

Företaget som marknadsför Nplate ska förse läkare med en doskalkylator som hjälper dem att beräkna de ibland mycket små mängderna Nplate som behöver injiceras. Läkarna kan också få ett utbildningspaket om hemadministrering med material som förklarar hur man utbildar patienter som ska injicera sig själva med Nplate, samt material för patienter om hur de ska bereda läkemedlet för injektion.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Nplate har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Nplate

Den 4 februari 2009 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Nplate som gäller i hela EU.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Nplate finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Nplate från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 12-2017.