



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/473109/2019  
EMA/H/C/000236

## Ferriprox (*deferipronum*)

Přehled pro přípravek Ferriprox a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Ferriprox a k čemu se používá?

Přípravek Ferriprox je „chelát železa“ (látka, která se váže na železo). Používá se k léčbě nahromadění železa (nadměrného množství železa v těle) u pacientů s thalassaemií major. Jedná se o dědičné onemocnění, při kterém tělo pacienta není schopno vytvářet dostatek hemoglobinu, což je bílkovina, která se nachází v červených krvinkách a přenáší v těle kyslík.

Přípravek Ferriprox se používá:

- samostatně, pokud nelze použít léčbu standardním chelátem železa nebo taková léčba není dostatečně účinná,
- v kombinaci s jiným chelátem železa, pokud je léčba pouze jedním chelátem železa neúčinná nebo pokud je za účelem prevence nebo léčby život ohrožujících stavů (zejména těch, které postihují srdce) zapotřebí rychlé nebo intenzivní úpravy hladiny železa.

Přípravek Ferriprox obsahuje léčivou látku deferipron.

### Jak se přípravek Ferriprox používá?

Výdej přípravku Ferriprox je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a dále vést lékař, který má zkušenosti s léčbou thalassaemie. Přípravek je k dispozici ve formě tablet (500 mg a 1 000 mg) a perorálního roztoku (100 mg/ml).

Obvyklá dávka přípravku Ferriprox je 25 mg na kilogram tělesné hmotnosti třikrát denně. Lékař může dávku přípravku Ferriprox upravit podle toho, jak dobře je u pacienta kontrolována hladina železa, což by se mělo hodnotit pomocí krevních testů každé dva až tři měsíce. Celková dávka za celý den by měla být nižší než 100 mg na kilogram tělesné hmotnosti. Pokud hladina železa klesne příliš, lékař může léčbu přerušit.

Více informací o používání přípravku Ferriprox naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## **Jak přípravek Ferriprox působí?**

Pacienti s thalassaemií major potřebují časté krevní transfuze. Červené krvinky obsažené v transfuzích jsou pro tělo zdrojem železa. Při opakovaných transfuzích se železo v těle hromadí, protože organismus nedokáže přirozeným způsobem přebytečné železo odstraňovat. Přebytečné železo může po jisté době poškodit důležité orgány, například srdce a játra. Léčivá látka v přípravku Ferriprox, deferipron, je chelát železa. V těle se váže na železo a vytváří sloučeninu, která může být z těla vyloučena, zejména močí a v menší míře stolicí. Vyloučení železa tímto způsobem pomáhá upravit nahromadění železa a předcházet poškození orgánů v důsledku nadměrného množství železa.

## **Jaké přínosy přípravku Ferriprox byly prokázány v průběhu studií?**

Přípravek Ferriprox byl zkoumán u 247 pacientů s thalassaemií major ve věku od 6 let. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna hladiny feritinu v krvi. Hladina feritinu v krvi je ukazatelem množství železa uloženého v těle.

Hlavní studie, do které bylo zařazeno 71 pacientů, porovnávala přípravek Ferriprox s deferoxaminem, jiným chelátem železa, po dobu 2 let. Deferoxamin se podával v noci podkožní injekcí. Průměrné hladiny feritinu v krvi byly v obou léčených skupinách obdobné. Zdálo se však, že průměrná koncentrace železa v játrech pacientů léčených přípravkem Ferriprox se zvýšila více než u pacientů léčených deferoxaminem.

V další studii, do které bylo zařazeno 60 pacientů léčených po dobu 12 měsíců, byla porovnávána kombinace přípravku Ferriprox a deferoxaminu (každý týden se přípravek Ferriprox podával 5 dnů a deferoxamin 2 dny) se samostatně užívaným deferoxaminem. Hladina feritinu v krvi se u pacientů léčených uvedenou kombinací snížila ve stejné míře jako u pacientů léčených pouze deferoxaminem. Počet pacientů zařazených do studie nebyl dostatečně vysoký, aby bylo možné prokázat, zda je uvedený režim stejně účinný jako podávání samotného deferoxaminu.

Publikované studie o přípravku Ferriprox společně s deferoxaminem navíc uváděly, že při společném podávání těchto přípravků došlo k většímu snížení hladiny feritinu v krvi než při jejich samostatném užívání. Podle publikované studie vedlo užívání přípravku Ferriprox v kombinaci s deferoxaminem také k výraznějšímu snížení koncentrace železa v srdci než při užívání samotného deferoxaminu.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Ferriprox?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Ferriprox (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou načervenalá až hnědá moč (což znamená, že se vylučuje železo), nauzea (pocit na zvracení), bolest břicha a zvracení. Méně časté, ale závažnější nežádoucí účinky jsou agranulocytóza (velmi nízké hladiny granulocytů, což je typ bílých krvinek) a neutropenie (nízké hladiny neutrofilů, což je typ bílých krvinek, které bojují s infekcemi).

Přípravek Ferriprox nesmí užívat osoby, které prodělaly opakovaně neutropenii nebo trpěly agranulocytózou. Přípravek Ferriprox se rovněž nesmí užívat společně s léčivými přípravky, které mohou vyvolat neutropenii nebo agranulocytózu. Při užívání přípravku Ferriprox by u pacienta měl být pravidelně (v prvním roce každý týden a poté méně často) kontrolován počet neutrofilů. Pokud se u pacienta vyskytne infekce, je nutné léčbu přípravkem Ferriprox dočasně přerušit a počet neutrofilů kontrolovat častěji. Pokud pacienti zaznamenají příznaky infekcí, jako je horečka, bolest v krku a chřipkové příznaky, měli by okamžitě informovat svého lékaře.

Přípravek Ferriprox nesmí užívat těhotné ani kojící ženy.

Úplný seznam omezení a nežádoucích účinků přípravku Ferriprox je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Ferriprox registrován v EU?**

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Ferriprox převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Ferriprox?**

Společnost, která přípravek Ferriprox dodává na trh, musí poskytnout kartičku pro pacienty nebo osoby, které je ošetřují, upozorňující na důležitost pravidelných testů za účelem zjištění počtu neutrofilů, nutnost sledovat příznaky infekce a v případě žen nutnost zabránit otěhotnění během léčby přípravkem Ferriprox.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Ferriprox, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Ferriprox průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Ferriprox jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

## **Další informace o přípravku Ferriprox**

Přípravku Ferriprox bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 25. srpna 1999.

Další informace o přípravku Ferriprox jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ferriprox](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ferriprox).

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 09-2019.