



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ferriprox (*deferipron*)

En oversigt over Ferriprox, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Ferriprox, og hvad anvendes det til?

Ferriprox er et "jernchelat (et stof, der binder sig til jern). Lægemidlet anvendes til behandling af jernophobning (overskud af jern i kroppen) hos patienter med thalassæmi major. Det er en arvelig sygdom, hvor patienterne ikke er i stand til at danne tilstrækkeligt hæmoglobin, som er det protein i de røde blodlegemer, der transporterer ilt rundt i kroppen.

Ferriprox anvendes:

- alene, når en jernchelaterende standardbehandling ikke kan anvendes eller ikke fungerer godt nok
- i kombination med et andet jernchelat, når behandling med ét jernchelat ikke fungerer, eller når jernniveauerne hurtigt eller intensivt skal korrigeres for at forebygge eller behandle livstruende sygdomme (som primært påvirker hjertet).

Ferriprox indeholder det aktive stof deferipron.

Hvordan anvendes Ferriprox?

Ferriprox fås kun på recept, og behandlingen bør indledes og overvåges af en læge med erfaring i at behandle thalassæmi. Det findes som tabletter (500 og 1.000 mg) og som oral opløsning (100 mg/ml).

Den anbefalede dosis af Ferriprox er 25 mg pr. kg legemsvægt én gang ugentligt. Lægen kan justere dosen af Ferriprox alt efter, hvor godt patientens jernindhold reguleres, hvilket bør måles hver 2.-3. måned med blodprøver. Den samlede daglige dosis bør være mindre end 100 mg pr. kg kropsvægt. Lægen kan afbryde behandlingen, hvis jernniveauet bliver for lavt.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Ferriprox, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Ferriprox?

Patienter med thalassæmi major har behov for hyppige blodtransfusioner. De overførte røde blodlegemer bringer jern ind i kroppen. Med gentagne transfusioner ophobes jern, fordi kroppen ikke kan fjerne overskydende jern ad naturlig vej. Med tiden kan overskud af jern beskadige vitale organer såsom hjerte og lever. Det aktive stof i Ferriprox, deferipron, er et "jernchelat". Det binder sig til jernet

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



i kroppen og danner en forbindelse, som kan fjernes fra kroppen, hovedsageligt gennem urinen og i mindre grad i afføringen. Udskillelse af jern på denne måde bidrager til at afhjælpe jernophobningen og forebygge skader på grund af overskud af jern.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Ferriprox?

Ferriprox blev undersøgt hos 247 patienter over 6 år med thalassæmi major. Virkningen blev hovedsageligt bedømt på ændringen af ferritin-niveauet i blodet. Ferritin-niveauet viser, hvor meget jern der er lagret i kroppen.

I hovedstudiet, der omfattede 71 patienter, blev Ferriprox sammenlignet med deferoxamin, et andet jernchelat, over 2 år. Deferoxamin blev indgivet ved injektion under huden for natten. De gennemsnitlige ferritin-niveauer i de to behandlingsgrupper var lig hinanden. Den gennemsnitlige koncentration af jern i leveren hos Ferriprox-behandlede patienter syntes dog at stige mere end hos patienter behandlet med deferoxamin.

I et andet studie med deltagelse af 60 patienter, der blev behandlet over 12 måneder, blev en kombination af Ferriprox og deferoxamin (Ferriprox i 5 dage plus deferoxamin i 2 dage hver uge) sammenlignet med deferoxamin alene. Ferritin-niveauet i blodet blev reduceret i samme grad hos patienter, der fik kombinationsbehandlingen, som hos patienter, der fik deferoxamin alene. Der var for få patienter i studiet til at bevise, om en sådan behandling er lige så effektiv som deferoxamin taget alene.

Offentliggjorte studier om anvendelsen af Ferriprox sammen med deferoxamin har desuden vist større fald i jernniveauerne, når begge lægemidler blev taget sammen, end når de blev taget hver for sig. I et offentliggjort studie førte Ferriprox sammen med deferoxamin også til større fald i jern i hjertet sammenlignet med patienter, der tager deferoxamin alene.

Hvilke risici er der forbundet med Ferriprox?

De hyppigste bivirkninger ved Ferriprox (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er rødbrun urin (der viser, at der bliver udskilt jern), kvalme, mavesmerter og opkastninger. Mindre hyppige men mere alvorlige bivirkninger er agranulocytose (meget lave mængder af granulocytter, en form for hvide blodlegemer) og neutropeni (lave mængder af neutrofiler, en form for hvide blodlegemer, der bekæmper infektioner).

Ferriprox må ikke anvendes hos personer, der har haft neutropeni eller agranulocytose. Ferriprox må heller ikke anvendes sammen med lægemidler, der kan forårsage neutropeni eller agranulocytose. Når patienten tager Ferriprox, bør vedkommendes neutrofilantal kontrolleres regelmæssigt (hver uge i det første år og derefter sjældnere). Hvis patienten får en infektion, bør behandlingen med Ferriprox ophøre midlertidigt, og neutrofilantallet kontrolleres oftere. Patienter bør straks underrette deres læge, hvis de har symptomer, der kan skyldes en infektion, såsom feber, ondt i halsen og influenzalignende symptomer.

Ferriprox må ikke anvendes af kvinder, der er gravide eller ammer.

Den fuldstændige liste over begrænsninger og bivirkninger ved Ferriprox fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Ferriprox godkendt i EU?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Ferriprox opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Ferriprox?

Virksomheden, der markedsfører Ferriprox, skal sørge for, at patienter eller deres omsorgspersoner får udleveret et påmindelseskort med information om vigtigheden af regelmæssige kontroller af neutrofilital, af at holde øje med symptomer på infektion og af at undgå at blive gravid under behandling med Ferriprox.

I produktresuméet og indlægssedlen er der desuden indføjet anbefalinger og forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge med henblik på sikker og effektiv anvendelse af Ferriprox.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Ferriprox løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Ferriprox vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Ferriprox

Ferriprox fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 25. august 1999.

Yderligere information om Ferriprox findes på agenturets websted under:

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

Denne oversigt blev sidst ajourført i 09-2019.