



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ferriprox (*deferiproni*)

Yleistiedot Ferriproxista sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Ferriprox on ja mihin sitä käytetään?

Ferriprox on rautaa kelatoiva aine (rautaan kiinnittyvä aine), jota käytetään raudan liikavarastoitumisen hoitoon hemolyyttistä anemiasairastavilla potilailla. Kyseessä on perinnöllinen sairaus, jossa potilaat eivät pysty tuottamaan riittävästi hemoglobiinia eli punaisissa verisoluissa olevaa proteiinia, joka kuljettaa happea kehon eri osiin.

Ferriproxia käytetään

- yksinään, kun rautaa kelatoivaa vakiohoitoa ei voida käyttää tai kun se ei tehoa riittävästi
- yhdessä toisen rautaa kelatoivan aineen kanssa, kun hoito yhdellä raudan kelatoijalla ei tehoa tai kun raudan pitoisuutta on korjattava nopeasti tai intensiivisesti, jotta voitaisiin ehkäistä tai hoitaa hengenvaarallisia sairauksia (jotka vaikuttavat pääasiassa sydämeen).

Ferriproxin vaikuttava aine on deferiproni.

Miten Ferriproxia käytetään?

Ferriprox on reseptilääke. Hoidon saa aloittaa vain hemolyyttisen anemian hoidosta kokemusta saanut lääkäri, jonka myös tulee jatkaa hoitoa. Lääkevalmistetta saa tabletteina (500 ja 1 000 mg) ja oraalliliuksena (100 mg/ml).

Ferriproxin suositusannos on 25 mg kehon painokiloa kohti kolme kertaa vuorokaudessa. Lääkäri voi mukauttaa Ferriprox-annosta sen mukaan, miten hyvin potilaan rautapitoisuus on hallinnassa. Rautapitoisuutta on mitattava verikokeella 2–3 kuukauden välein. Vuorokauden kokonaisannoksen on oltava alle 100 mg kehon painokiloa kohti. Lääkäri saattaa keskeyttää hoidon, jos rautapitoisuus pienenee liikaa.

Lisätietoja Ferriproxin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Ferriprox vaikuttaa?

Hemolyyttistä anemiasairastavat potilaat tarvitsevat usein verensiirtoja. Siirretyt punasolut tuovat rautaa elimistöön. Rautaa kertyy kehoon toistuvien verensiirtojen seurauksena, koska elimistöllä ei ole luonnollista tapaa poistaa ylimääräistä rautaa. Ajan mittaan liiallinen rauta voi vahingoittaa tärkeitä

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



eliimiä, kuten sydäntä ja maksaa. Ferriproxin vaikuttava aine deferiproni on rautaa kelatoiva aine. Se kiinnittyy rautaan kehossa ja muodostaa yhdisteen, joka voi poistua elimistöstä etupäässä virtsan ja jossakin määrin myös ulosteen mukana. Raudan poistuminen tällä tavoin korjaa raudan liikkavarastoitumista ja estää siitä aiheutuvia vaurioita.

Mitä hyötyä Ferriproxista on havaittu tutkimuksissa?

Ferriproxiaa tutkittiin 247:llä yli 6-vuotiaalla potilaalla, joilla oli hemolyyttinen anemia. Tehon pääasiallisena mittana oli muutos potilaan veren ferritiinipitoisuudessa, joka ilmaisee, kuinka paljon kehoon on varastoitunut rautaa.

Päätutkimuksessa, johon osallistui 71 potilasta, Ferriproxiaa verrattiin deferoksamiiniin (toinen rautaa kelatoiva aine) yli kahden vuoden ajan. Deferoksamiinia annettiin injektiona ihon alle yön aikana. Veren keskimääräinen ferritiinipitoisuus oli samanlainen molemmissa ryhmissä. Ferriproxilla hoidettujen potilaiden maksan keskimääräinen rautapitoisuus näytti kuitenkin kasvavan enemmän kuin deferoksamiinilla hoidettujen potilaiden.

Toisessa tutkimuksessa, johon osallistui 60 yli 12 kuukauden ajan hoidettua potilasta, Ferriproxin ja deferoksamiinin yhdistelmää (Ferriproxia viitenä päivänä sekä deferoksamiinia kahtena päivänä viikoittain) verrattiin pelkkään deferoksamiiniin. Veren ferritiinipitoisuudet vähenivät yhtä paljon yhdistelmää saaneilla potilailla kuin pelkkää deferoksamiinia saaneilla potilailla. Tutkimukseen osallistui liian vähän potilaita, jotta olisi voitu osoittaa, onko kyseinen hoito yhtä tehokas kuin pelkkä deferoksamiini.

Lisäksi julkaistuissa tutkimuksissa Ferriproxin käytöstä yhdessä deferoksamiinin kanssa ilmoitettiin suuremmasta ferritiinipitoisuuden alenemasta, kun molempia lääkkeitä käytettiin yhdessä verrattuna näiden lääkkeiden käyttöön yksinään. Yhdessä julkaistussa tutkimuksessa Ferriproxin käyttö yhdessä deferoksamiinin kanssa aikaansai myös suuremman rautapitoisuuden vähenemisen sydämessä kuin pelkän deferoksamiinin käyttö.

Mitä riskejä Ferriproxiin liittyy?

Ferriproxin yleisimmät haittavaikutukset (useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) ovat punaruskea virtsa (osoittaa raudan poistuvan virtsasta), pahoinvointi, mahakivut sekä oksentelu. Harvinaisempia mutta vakavampia haittavaikutuksia ovat agranulosytoosi (hyvin alhainen granulosyyttien eli jyväsolujen – valkosolun tyyppi – määrä) ja neutropenia (infektioita torjuvien valkosolujen, neutrofiilien, alhainen määrä).

Ferriproxiaa eivät saa käyttää potilaat, joilla on ollut toistuva neutropenia tai agranulosytoosi. Ferriproxiaa ei saa myöskään käyttää sellaisten lääkkeiden kanssa, jotka voivat aiheuttaa neutropeniaa tai agranulosytoosia. Ferriproxiaa käytettäessä potilaan neutrofiilien määrä on tarkistettava säännöllisesti (viikoittain ensimmäisenä vuonna ja sen jälkeen harvemmin). Jos potilas saa infektion, Ferriprox-hoito on lopetettava väliaikaisesti ja neutrofiilien määrä on tarkistettava useammin. Potilaan on ilmoitettava heti lääkärille, jos hänellä on infektion oireita, kuten kuumetta, kurkkukipua ja flunssan kaltaisia oireita.

Ferriproxiaa ei saa antaa raskaana oleville tai imettäville naisille.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Ferriproxin rajoituksista ja haittavaikutuksista.

Miksi Ferriprox on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Ferriproxin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Ferriproxin turvallinen ja tehokas käyttö?

Ferriproxia markkinoivan yrityksen on toimitettava potilaille tai heidän hoitajilleen muistutuskortti, jossa mainitaan säännöllisesti tehtävien neutrofiilien määrää mittaavien kokeiden tärkeydestä, tarpeesta valppauteen tulehdusoireiden varalta ja naisten osalta raskaaksi tulemisen välttämistä Ferriprox-hoidon aikana.

Ferriproxin turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettavaksi.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Ferriproxin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Ferriproxista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Ferriproxista

Ferriprox sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 25. elokuuta 1999.

Lisää tietoa Ferriproxista on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ferriprox.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 09-2019.