



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Ferriprox (*deferipron*)

Een overzicht van Ferriprox en waarom het is geregistreerd in de EU

### Wat is Ferriprox en wanneer wordt het voorgeschreven?

Ferriprox is een 'ijzerchelator' (een stof die zich aan ijzer hecht) en wordt gebruikt voor de behandeling van ijzerstapeling (een overschot aan ijzer in het lichaam) bij patiënten met thalassaemia major. Dit is een erfelijke ziekte waarbij patiënten niet in staat zijn tot het aanmaken van voldoende hemoglobine, het eiwit in de rode bloedcellen dat zuurstof door het lichaam transporteert.

Ferriprox wordt gebruikt:

- als monotherapie, wanneer de standaard ijzerchelatorbehandeling niet kan worden gebruikt of niet goed genoeg werkt;
- in combinatie met een andere ijzerchelator, wanneer behandeling met één ijzerchelator als monotherapie niet werkt of wanneer het ijzergehalte snel of intensief moet worden gecorrigeerd om levensbedreigende aandoeningen (voornamelijk van het hart) te voorkomen of behandelen.

Ferriprox bevat de werkzame stof deferipron.

### Hoe wordt Ferriprox gebruikt?

Ferriprox is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling dient te worden gestart en voortgezet door een arts met ervaring in de behandeling van thalassaemia. Het middel is verkrijgbaar als tabletten (500 en 1 000 mg) en als drank (100 mg/ml).

De gebruikelijke dosering van Ferriprox is driemaal daags 25 mg per kilogram lichaamsgewicht. De arts kan de dosis Ferriprox aanpassen op basis van hoe goed het ijzergehalte van de patiënt onder controle is, wat elke 2 tot 3 maanden met bloedtests dient te worden gemeten. De totale dosis voor de hele dag dient minder dan 100 mg per kilogram lichaamsgewicht te zijn. De arts kan de behandeling onderbreken als het ijzergehalte te laag wordt.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Ferriprox.

---

**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



## Hoe werkt Ferriprox?

Patiënten met thalassaemia major hebben vaak bloedtransfusies nodig. De via transfusie toegediende rode bloedcellen brengen ijzer in het lichaam. Bij herhaalde transfusies stapelt het ijzer zich op omdat het lichaam niet over een natuurlijke manier beschikt om een overschot aan ijzer te verwijderen. In de loop der tijd kan het overschot aan ijzer belangrijke organen zoals het hart en de lever beschadigen. De werkzame stof in Ferriprox, deferipron, is een ijzerchelator. Deze hecht zich aan ijzer in het lichaam en vormt zo een verbinding die door het lichaam kan worden verwijderd, voornamelijk via de urine en in mindere mate via de ontlasting. Het op deze manier verwijderen van ijzer helpt de ijzerstapeling te corrigeren en schade door een overschot aan ijzer te voorkomen.

## Welke voordelen bleek Ferriprox tijdens de studies te hebben?

Ferriprox werd onderzocht bij 247 patiënten van 6 jaar en ouder met thalassaemia major. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering in het ferritinegehalte in het bloed. Het bloedferritinegehalte geeft aan hoeveel ijzer er in het lichaam wordt opgeslagen.

Bij de hoofdstudie onder 71 patiënten werd Ferriprox gedurende 2 jaar vergeleken met deferoxamine, een andere ijzerchelator. Deferoxamine werd 's nachts via onderhuidse injectie toegediend. De gemiddelde bloedferritinegehalten in de twee behandelingsgroepen waren vergelijkbaar. De gemiddelde ijzerconcentratie in de lever van met Ferriprox behandelde patiënten leek echter meer toe te nemen dan bij de met deferoxamine behandelde patiënten.

In een andere studie onder 60 patiënten die gedurende 12 maanden werden behandeld, werd een combinatie van Ferriprox en deferoxamine (elke week Ferriprox gedurende 5 dagen plus deferoxamine gedurende 2 dagen) vergeleken met deferoxamine als monotherapie. De bloedferritinegehalten werden bij patiënten die met de combinatie werden behandeld in dezelfde mate verlaagd als bij gebruik van deferoxamine als monotherapie. Er waren te weinig patiënten in de studie om te bewijzen of een dergelijk schema even doeltreffend is als deferoxamine als monotherapie.

Daarnaast werd in gepubliceerde studies naar Ferriprox in combinatie met deferoxamine melding gemaakt van grotere afnames in bloedferritinegehalten wanneer beide geneesmiddelen in combinatie werden gebruikt, dan wanneer het ene of het andere geneesmiddel als monotherapie werd gebruikt. In een gepubliceerde studie leidde Ferriprox in combinatie met deferoxamine ook tot grotere afnames van ijzer in het hart dan bij patiënten die alleen deferoxamine gebruikten.

## Welke risico's houdt het gebruik van Ferriprox in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Ferriprox (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn roodbruine urine (waaruit blijkt dat ijzer via de urine wordt verwijderd), misselijkheid, buikpijn (maagpijn) en braken. Minder vaak voorkomende, maar ernstigere bijwerkingen zijn agranulocytose (zeer lage aantallen granulocyten, een type witte bloedcellen) en neutropenie (lage aantallen neutrofielen, een type witte bloedcellen die infecties bestrijden).

Ferriprox mag niet worden gebruikt bij mensen die herhaaldelijk neutropenie hebben gehad of die agranulocytose hebben gehad. Ferriprox mag evenmin worden gebruikt in combinatie met geneesmiddelen die neutropenie of agranulocytose kunnen veroorzaken. Wanneer Ferriprox wordt gebruikt dient de neutrofielentelling van de patiënt regelmatig te worden gecontroleerd (in het eerste jaar elke week, daarna minder frequent). Als de patiënt een infectie krijgt, dient de behandeling met Ferriprox tijdelijk te worden stopgezet en dient de neutrofielentelling vaker te worden gecontroleerd. Patiënten dienen het onmiddellijk aan hun arts te vertellen als ze symptomen van een infectie hebben, zoals koorts, keelpijn en griepachtige symptomen.

Ferriprox mag niet worden gebruikt bij vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de beperkende voorwaarden en de bijwerkingen van Ferriprox.

## **Waarom is Ferriprox geregistreerd in de EU?**

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Ferriprox groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Ferriprox te waarborgen?**

De firma die Ferriprox in de handel brengt, moet voor patiënten of hun verzorgers een kaart leveren om hen te herinneren aan het belang van het regelmatig testen van het aantal neutrofielen, de noodzaak om te letten op symptomen van infectie en (voor vrouwen) om zwangerschap tijdens behandeling met Ferriprox te vermijden.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Ferriprox, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Ferriprox continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Ferriprox worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

## **Overige informatie over Ferriprox**

Ferriprox heeft op 25 augustus 1999 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen gekregen.

Meer informatie over Ferriprox is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ferriprox](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ferriprox).

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 09-2019.