



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/614982/2018
EMA/H/C/000273

Rapamune (*sirolimus*)

Prehľad o lieku Rapamune a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Rapamune a na čo sa používa?

Liek Rapamune sa používa na prevenciu odvrhnutia novej transplantovanej obličky organizmom. Liek sa používa v prípade dospelých s nízkym až stredne vysokým rizikom odvrhnutia orgánu. Liek Rapamune sa odporúča používať spolu s cyklosporínom a kortikosteroidmi (ďalšími liekmi na prevenciu odvrhnutia orgánu) počas dvoch až troch mesiacov. Liek Rapamune sa následne môže použiť na pokračujúcu liečbu kortikosteroidmi, ale iba v prípade, že liečba cyklosporínom sa môže zastaviť.

Liek Rapamune sa používa aj na liečbu pacientov so sporadickou lymfangioleiomyomatózou (S-LAM) so stredne závažným ochorením pľúc alebo so zhoršujúcou sa funkciou pľúc. S-LAM je zriedkavé ochorenie pľúc, ktoré spôsobuje zhoršujúce sa príznaky, ako je dýchavičnosť, a vyskytuje sa najmä u žien, ktoré sú vo veku, keď môžu mať deti.

Liek Rapamune obsahuje účinnú látku sirolimus.

Ako sa liek Rapamune používa?

Liečbu liekom Rapamune má začať a ďalej viesť lekár, ktorý je kvalifikovaný špecialista v transplantológii. Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Liek Rapamune je dostupný vo forme perorálneho roztoku (1 mg/ml) a tabliet (0,5 mg; 1 mg a 2 mg).

Na prevenciu odvrhnutia orgánu je prvá dávka zvyčajne 6 mg, podaná následne po transplantácii a potom nasleduje dávka 2 mg jedenkrát denne. Lekár dávku upraví tak, aby sa dosiahla príslušná hladina sirolimu v krvi pacienta.

Na liečbu pacientov, ktorí majú S-LAM, je dávka lieku Rapamune 2 mg denne a po 10 až 20 dňoch lekár dávku upraví tak, aby sa dosiahla príslušná hladina sirolimu v krvi pacienta.

Viac informácií o používaní lieku Rapamune si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.



Akým spôsobom liek Rapamune **účinkuje?**

Liečivo lieku Rapamune, sirolimus, je imunosupresívum (liek, ktorý znižuje činnosť imunitného systému). Sirolimus sa v tele naviaže na proteín v bunkách, pričom sa vytvorí tzv. komplex. Tento komplex následne blokuje ďalší proteín, ktorý sa nazýva **cicavčia cieľová kináza rapamycínu (mTOR)**. Keďže mTOR sa podieľa na množení aktivovaných T-lymfocytov (bielych krviniek, ktoré sú zodpovedné za napadnutie transplantovaného orgánu), liek Rapamune znižuje počet týchto buniek, čím sa znižuje riziko odvrhnutia orgánu.

Pri S-LAM je mTOR nadmerne aktívna, čo spôsobuje nadmerné množenie buniek, ktoré spôsobujú ochorenie. Blokovaním mTOR liek Rapamune znižuje množenie týchto buniek.

Aké prínosy lieku Rapamune boli preukázané v štúdiách?

Prevenca odvrhnutia orgánu

Liek Rapamune bol v dvoch hlavných štúdiách zahŕňajúcich celkovo 1 295 pacientov po transplantácii obličiek **účinnnejší** než placebo (zdanlivý liek) alebo azatioprín (ďalšie imunosupresívum). Všetci pacienti boli liečení aj cyklosporínom a kortikosteroidmi a mali nízke až stredne vysoké riziko odvrhnutia orgánu. Hlavným meradlom účinnosti bol počet prípadov neúspešnej liečby (odvrhnutie alebo strata novej obličky alebo smrť) po šiestich mesiacoch. V prvej štúdii bola liečba neúspešná u 19 % (53 z 284) pacientov, v prípade ktorých bol liek Rapamune pridaný po 6 mesiacoch, v porovnaní s 32 % (52 zo 161) pacientov, v prípade ktorých bol pridaný azatioprín. V druhej štúdii bola liečba neúspešná u 30 % (68 z 277) pacientov, v prípade ktorých bol pridaný liek Rapamune, v porovnaní so 48 % (62 zo 130) pacientov, v prípade ktorých bolo pridané placebo.

V dvoch ďalších štúdiách sa skúmal liek Rapamune ako pokračujúca liečba trvajúca až päť rokov v prípade 765 pacientov, u ktorých sa mohla zastaviť liečba cyklosporínom po dvoch až troch mesiacoch. Liek Rapamune bol účinný, pokiaľ ide o prežitie novej obličky, pričom sa zlepšila funkcia novej obličky aj krvný tlak, keď sa zastavila liečba cyklosporínom.

Liečba S-LAM

Liek Rapamune bol v štúdii zahŕňajúcej 81 pacientov so S-LAM **účinnnejší** pri zlepšení funkcie pľúc než placebo. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena FEV₁ (maximálneho objemu vzduchu, ktorý osoba môže vydýchnuť za jednu sekundu). Hodnota FEV₁ u pacientov liečených liekom Rapamune sa zlepšila priemerne o 1 ml za mesiac v porovnaní so zhoršením o 12 ml za mesiac u pacientov užívajúcich placebo.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Rapamune?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Rapamune (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú infekcie, horúčka, pomalé hojenie rán, nízky počet rôznych krvných buniek, krvné testy preukazujúce zmenené hladiny rôznych látok (vrátane nízkej hladiny draslíka a fosfátu; zvýšenej hladiny tukov, cholesterolu, glukózy a ukazovateľov rozpadu tkanív, ako aj funkcie pečene a obličiek), cukrovka, lymfokéla (hromadenie lymfatickej tekutiny, zvyčajne v dolnej časti brucha), bolesť v rôznych častiach tela, rýchly srdcový pulz, zvýšený krvný tlak, črevné problémy, proteinúria (bielkovina v moči), menštruačné poruchy, edém (opuch spôsobený hromadením tekutiny), vyrážka a akné.

Pacienti s alergiou na arašidy alebo sóju nesmú užívať perorálny roztok lieku Rapamune, pretože obsahuje sójový olej.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Rapamune a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Rapamune povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky usúdila, že liek Rapamune je účinný pri prevencii odvrhnutia transplantovanej obličky u pacientov s nízkym až stredne vysokým rizikom odvrhnutia orgánu. Agentúra konštatovala, že na liečbu S-LAM nebol povolený žiadny liek a účinok lieku Rapamune na funkciu pľúc sa považuje za dôležitý. Agentúra rozhodla, že prínosy lieku Rapamune sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na **bezpečné** a **účinné** používanie lieku Rapamune?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Rapamune boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Rapamune sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Rapamune sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Rapamune

Lieku Rapamune bolo dňa 14. marca 2001 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Rapamune sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 07-2018