



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/790608/2017  
EMA/H/C/000942

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Nplate

## romiplostim

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) para Nplate. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado el medicamento y ha emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Nplate.

Para más información sobre el tratamiento con Nplate, el paciente debe leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

### ¿Qué es Nplate y para qué se utiliza?

Nplate se utiliza en pacientes mayores de un año de edad con púrpura trombocitopénica inmunitaria (PTI) de larga duración, una enfermedad en la que el sistema inmunitario del paciente destruye las plaquetas (elementos de la sangre que contribuyen a la coagulación). Los pacientes con PTI presentan un recuento bajo de plaquetas y corren el riesgo de sufrir hemorragias.

Nplate se utiliza cuando el tratamiento con medicamentos como los corticosteroides o las inmunoglobulinas no ha dado resultado. Nplate puede utilizarse en pacientes a los que se ha extirpado el bazo para controlar la enfermedad y en pacientes que conservan el bazo. El bazo, un órgano que se encuentra detrás del estómago, interviene en la eliminación de las plaquetas de la sangre.

Dado que el número de pacientes afectados por la PTI es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Nplate fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 27 de mayo de 2005.

Nplate contiene el principio activo romiplostim.

### ¿Cómo se usa Nplate?

Nplate solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe ser supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de las enfermedades de la sangre.



Nplate se presenta en forma de polvo con el que se prepara una solución inyectable. Se administra una vez a la semana mediante una inyección subcutánea. La dosis inicial depende del peso del paciente y posteriormente debe ajustarse para mantener el recuento de plaquetas dentro de los objetivos. El tratamiento debe interrumpirse si el recuento de plaquetas no aumenta lo suficiente para reducir el riesgo de hemorragia después de 4 semanas de tratamiento con la dosis máxima de Nplate. Los adultos cuyos niveles de plaquetas se hayan estabilizado podrán inyectarse ellos mismos el medicamento tras haber recibido la formación adecuada.

Para más información, consulte el prospecto.

## **¿Cómo actúa Nplate?**

El principio activo de Nplate, el romiplostim, estimula la producción de plaquetas. En el organismo existe una hormona denominada «trombopoyetina» que normalmente estimula la producción de plaquetas en la médula ósea. El romiplostim se ha diseñado para unirse a los mismos objetivos (receptores) que la trombopoyetina y estimularlos. Al imitar la acción de la trombopoyetina, el romiplostim estimula la producción de plaquetas, lo que incrementa el recuento plaquetario y reduce el riesgo de hemorragia.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Nplate en los estudios realizados?**

Dos estudios principales realizados en adultos y un tercero estudio en niños revelaron que Nplate es eficaz para el tratamiento de la PTI de larga duración. Todos los estudios compararon Nplate con un placebo (un tratamiento ficticio). Los pacientes recibieron tratamiento durante 24 semanas y el criterio principal de valoración de la eficacia fue el aumento del recuento de plaquetas por encima de un umbral de 50 millones de plaquetas por mililitro de sangre durante al menos 6 de las últimas 8 semanas de tratamiento. Un recuento de plaquetas inferior a 30 millones por mililitro supone un riesgo de hemorragia para los pacientes, mientras que el recuento normal se sitúa entre 150 y 400 millones por mililitro.

En el primer estudio participaron 63 pacientes cuya enfermedad no estaba controlada a pesar de que se les había extirpado el bazo. El recuento de plaquetas aumentó por encima del umbral en el 38 % de los pacientes que recibieron Nplate (16 de 42), en comparación con ninguno de los 21 que recibieron el placebo.

En el segundo estudio participaron 62 pacientes cuya PTI había sido tratada previamente (pero en los que no se había extirpado el bazo). El recuento de plaquetas aumentó por encima del umbral en el 61 % de los pacientes que recibieron Nplate (25 de 41), en comparación con el 5 % de los que recibieron el placebo (1 de 21).

En el estudio realizado en niños participaron 62 pacientes de entre 1 y 18 años con PTI tratada previamente (incluidos algunos a los que se había extirpado el bazo). El recuento de plaquetas aumentó por encima del umbral en el 52 % de los pacientes que recibieron Nplate (22 de 42), en comparación con el 10 % de los que recibieron el placebo (2 de 20).

Los estudios a largo plazo realizados en más de 1 000 pacientes, algunos tratados durante más de 5 años, confirmaron que Nplate seguía siendo eficaz tanto en los pacientes a los que se había extirpado el bazo como en los que lo conservaban.

## ¿Cuál es el riesgo asociado a Nplate?

Los efectos adversos más frecuentes de Nplate en adultos (observados en más de 1 de cada 10 pacientes) son dolor de cabeza, infecciones de la nariz y la garganta y reacciones alérgicas (hipersensibilidad), como erupción cutánea, picor e hinchazón rápida debajo de la piel. Los efectos adversos más frecuentes en los niños son infecciones de la nariz y la garganta, moqueo nasal, tos, fiebre, dolor de boca y garganta, dolor abdominal, diarrea, erupción cutánea y hematomas. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Nplate, consultar el prospecto.

Nplate no debe administrarse a personas hipersensibles (alérgicas) al romiplostim, a cualquiera de los demás componentes del medicamento o a las proteínas producidas por *Escherichia coli* (una bacteria).

## ¿Por qué se ha aprobado Nplate?

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Nplate son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su comercialización.

La Agencia señaló que Nplate era eficaz tanto en los pacientes a los que se había extirpado el bazo como en los pacientes que lo conservaban. La mejoría del recuento de plaquetas fue duradera y clínicamente relevante en ambos grupos, si bien el tratamiento solo controla los síntomas y no cura la enfermedad. Por consiguiente, en los pacientes que conservan el bazo debe evaluarse periódicamente la posibilidad de extirparlo.

## ¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Nplate?

La compañía que comercializa Nplate proporcionará a los médicos una «calculadora de dosis» para ayudarlos a calcular los volúmenes de Nplate, en ocasiones muy reducidos, que deben inyectarse. Los médicos también pueden recibir un paquete de formación para la administración a domicilio, que incluye materiales para enseñar a los pacientes que vayan a inyectarse Nplate ellos mismos y materiales destinados a los pacientes sobre cómo preparar el medicamento inyectable.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Nplate se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

## Otras informaciones sobre Nplate

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Nplate el 4 de febrero de 2009.

El EPAR completo de Nplate se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mayor información sobre el tratamiento con Nplate, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Nplate se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 12-2017