



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/319898/2023
EMA/H/C/004178

Refixia (*nonacog beta pegol*)

Общ преглед на Refixia и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Refixia и за какво се използва?

Refixia е лекарство, което се използва за лечение и профилактика на кръвоизливи при пациенти с хемофилия В, наследствено разстройство на кръвосъсирването, причинено от липсата на фактор IX — протеин, необходим за образуване на кръвни съсиреци за спиране на кръвенето.

Refixia съдържа активното вещество нонаког бета пегол (*nonacog beta pegol*).

Как се използва Refixia?

Refixia се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се прилага само под наблюдението на лекар с опит в лечението на хемофилия.

Refixia се прилага като инжекция във вена. Дозата и честотата на лечението зависят от това дали Refixia се прилага за лечение или профилактика на кръвене, или за намаляване на кръвенето по време на хирургична намеса, както и от степента и местоположението на кръвоизлива, и телесното тегло на пациента.

Пациентите или полагащите грижи за тях трябва да могат да инжектират Refixia самостоятелно у дома, след като са били обучени по подходящ начин за това. За повече информация вижте листовката.

За повече информация относно употребата на Refixia вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Refixia?

При пациенти с хемофилия В липсва фактор IX — белтък, който е необходим за нормалното съсирване на кръвта, и в резултат на това те кървят лесно. Активното вещество в Refixia, нонаког бета пегол, действа в организма по същия начин, както човешкият фактор IX. То заменя липсващия фактор IX, като по този начин способства за съсирването на кръвта и предоставя временен контрол върху кръвенето.

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Какви ползи от Refixia са установени в проучванията?

Показано е, че Refixia е ефективен както за лечение на епизоди на кървене, така и за поддържане броя на епизодите нисък.

В едно проучване, обхващащо 74 възрастни и юноши на възраст 13 и повече години, 29 пациенти, които получават Refixia като ежеседмично профилактично лечение, имат около 1 епизод на кървене, а 15 пациенти, които получават Refixia за лечение на кървене „при нужда“, имат около 16 епизода на кървене годишно. Освен това при поява на кървене на Refixia е поставена оценка „отличен“ или „добър“ при лечението на около 92% от епизодите на кървене. 87% от епизодите на кървене се решават с една инжекция на Refixia.

Във второто проучване при 25 деца на възраст под 13 години, лекувани преди това с други продукти с фактор IX, всички пациенти получават Refixia като ежеседмично профилактично лечение. След една година на лечение пациентите са имали около 1 епизод на кървене годишно. На Refixia е поставена оценка „отличен“ или „добър“ при лечението на около 93 % от епизодите на кървене. Около 86% от епизодите на кървене са овладени с една инжекция. Проучването също така предостави данни за дългосрочната употреба на Refixia. За период до 8 години на лечение с Refixia средната годишна честота на кървене е 0,9 кръвоизлива годишно. На Refixia е поставена оценка „отличен“ или „добър“ при лечението на около 89 % от епизодите на кървене. Около 82% от епизодите на кървене са овладени с една инжекция Refixia.

В трето проучване при 50 деца на възраст под 7 години, които преди това не са били лекувани с други продукти, съдържащи фактор IX, Refixia се прилага като ежеседмично профилактично лечение. За период до 6 години на лечение с Refixia средната годишна честота на кървене е 0,7 кръвоизлива годишно. На Refixia е поставена оценка „отличен“ или „добър“ при лечението на около 96 % от епизодите на кървене. Около 91 % от епизодите на кървене са овладени с една инжекция Refixia.

Резултатите от двете проучвания при деца също показват, че след около 6 години лечение с Refixia пациентите постигат стабилни нива на фактор IX, които са в очаквания диапазон при пациенти с лека хемофилия.

Какви са рисковете, свързани с Refixia?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Refixia вижте листовката.

Реакции на свръхчувствителност (алергия) се наблюдават рядко при Refixia (може да засегнат до 1 на 100 пациенти) и могат да включват: подуване, парене и боцкане на мястото на инжектиране, тръпки, зачервяване, сърбящ обрив, главоболие, уртикария, ниско кръвно налягане, летаргия, гадене и повръщане, безпокойство, ускорена сърдечна дейност, стягане в гърдите и хрипове. В някои случаи тези реакции могат да станат тежки.

Също така при лекарствата с фактор IX има риск някои от пациентите да развият инхибитори (антитела) срещу фактор IX, в резултат на което действието на лекарството да спре и това да доведе до загуба на контрол върху кървенето. Лекарствата с фактор IX могат също така да предизвикат потенциални проблеми поради образуване на съсиреци в кръвоносните съдове.

Refixia не трябва да се използва при пациенти, алергични към нонаког бета пегол или към някоя от съставките на лекарството, нито при пациенти с известна алергия към протеини от хамстер.

Защо Refixia е разрешен за употреба?

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от Refixia са по-големи от рисковете и препоръча този лекарствен продукт да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Проучванията показват, че Refixia е ефективен за профилактика и лечение на епизоди на кървене при пациенти с хемофилия В и безопасността му е сравнима с тази на други продукти с фактор IX. Въпреки това част от активното вещество в Refixia (наречено PEG) може да се натрупа в организма, в това число в една мозъчна структура, наречена хороиден плексус, в резултат на дълготрайно лечение.

Дълготрайната употреба на Refixia при деца на възраст под 13 години води до нисък годишен процент на кървене. Освен това се счита, че Refixia осигурява защитен ефект срещу епизоди на кървене чрез генериране на стабилни нива на фактор IX при деца на възраст под 13 години, на които се прилага лекарството за предотвратяване на кървене. Refixia не е бил одобрен преди това за деца на възраст под 12 години поради опасения относно натрупването на PEG при малки деца. Цялостните данни от проучванията, включително данните за дълготрайна употреба, не показват връзка с нежеланите реакции на нервната система, дължащи се на натрупването на PEG.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Refixia?

Фирмата, която предлага на пазара Refixia, ще проведе проучване, за да изследва потенциалните ефекти от натрупване на PEG в хороидния плексус на мозъка и други органи.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Refixia, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Допълнителна информация за Refixia

Refixia получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 2 юни 2017 г.

Допълнителна информация за Refixia можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/refixia

Дата на последно актуализиране на текста 07-2023.