



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267622/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*hydrocortisonum*)

Přehled pro přípravek Efmody a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Efmody a k čemu se používá?

Efmody je léčivý přípravek používaný k léčbě dědičného onemocnění zvaného kongenitální adrenální hyperplazie u pacientů ve věku od 12 let.

Kongenitální adrenální hyperplazie je vzácné onemocnění a přípravek Efmody byl označen dne 27. července 2005 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Přípravek Efmody obsahuje léčivou látku hydrokortison a je to „hybridní léčivý přípravek“. Znamená to, že přípravek je podobný „referenčnímu léčivému přípravku“, obsahuje stejnou léčivou látku, avšak má jiné použití a je dostupný v různých silách ve formě tobolek, z nichž se léčivá látka uvolňuje po delší dobu. Referenčním léčivým přípravkem pro přípravek Efmody ve formě tobolek je přípravek Hydrocortone ve formě tablet.

Jak se přípravek Efmody používá?

Přípravek Efmody je dostupný ve formě tobolek s řízeným uvolňováním a jeho výdej je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit lékař, který má zkušenosti s léčbou kongenitální adrenální hyperplazie.

Doporučená dávka přípravku Efmody u dospělých a dospívajících, u nichž již skončil růst, je 15 až 25 mg denně. U dospívajících, u nichž růst ještě neskončil, se dávka určuje na základě jejich tělesné hmotnosti a výšky. Denní dávka může být podle potřeby upravena na základě individuální odpovědi pacienta. Dvě třetiny až tři čtvrtiny denní dávky se užívají večer před spaním, nejméně 2 hodiny po posledním jídle, a zbytek ráno, nejméně 1 hodinu před jídlem.

Během období psychické nebo fyzické zátěže, včetně chirurgického zákroku a infekcí, může být nutné, aby pacienti užívali doplňující hydrokortison.

Více informací o používání přípravku Efmody naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.



Jak přípravek Efmody působí?

Osoby s kongenitální adrenální hyperplazií nejsou schopny vytvářet dostatek přirozeného kortikosteroidního hormonu kortizolu (a někdy jiného hormonu aldosteronu). Kortizol se přirozeně vytváří v nadledvinách (malých žlázách nacházejících se přímo nad ledvinami) a napomáhá regulovat jiné hormony a reakci těla na zátěž a také rovnováhu solí a vody v těle. Tyto osoby trpí rovněž zvýšenými hladinami mužských pohlavních hormonů, což může vést k problémům s růstem a plodností.

Přípravek Efmody obsahuje hydrokortison, což je syntetická forma kortizolu, a pomalu jej uvolňuje do střev za účelem nahrazení přirozeného hormonu v těle podle vzorce, který se podobá přirozené každodenní sekreci kortizolu. To pomáhá obnovit normální hormonální rovnováhu a minimalizovat další aspekty onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Efmody byly prokázány v průběhu studií?

Přínosy přípravku Efmody v rámci léčby kongenitální adrenální hyperplazie byly prokázány v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 122 pacientů s tímto onemocněním. Přípravek Efmody byl srovnáván se standardní léčbou zahrnující jiné léčivé přípravky obsahující kortikosteroidy. Hlavním měřítkem účinnosti bylo skóre vycházející z hladin 17-OHP, hormonální látky, která je ukazatelem zvýšené hladiny mužských pohlavních hormonů u nekontrolované kongenitální adrenální hyperplazie. Pokles tohoto skóre v průběhu studie naznačoval lepší kontrolu onemocnění. Po 24 týdnech trvání studie pokleslo toto skóre u pacientů léčených přípravkem Efmody o 0,403 bodu ve srovnání s 0,172 bodu u pacientů podstupujících standardní léčbu. Ačkoli tento rozdíl nebyl dostatečný k tomu, aby bylo možné jasně prokázat, že přípravek Efmody účinkoval lépe než standardní léčba, měření rovněž naznačovala lepší kontrolu ranních hladin 17-OHP.

Z podpůrných údajů z probíhající pokračující studie vyplynulo, že kontrola kongenitální adrenální hyperplazie by mohla být při použití přípravku Efmody zachována i dlouhodobě.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Efmody?

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Efmody (který může postihnout více než 1 osobu z 10) je únava. Dalšími častými nežádoucími účinky přípravku Efmody (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou bolest hlavy, zvýšená chuť k jídlu, závratě a zvýšení tělesné hmotnosti. Nejčastějším závažným nežádoucím účinkem je akutní adrenální insuficience (kdy léčivý přípravek obsahující kortikosteroidy nedokáže dodat dostatek hydrokortisonu v reakci na zvýšené potřeby kortizolu během zátěže nebo infekce, což se může projevit zvracením nebo tím, že se pacientovi udělá velmi špatně).

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Efmody je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Efmody registrován v EU?

Přípravek Efmody poskytl dostatečnou kontrolu kongenitální adrenální hyperplazie a celkové údaje naznačovaly zlepšení hormonální rovnováhy. Z dlouhodobých údajů vyplynulo, že tyto účinky lze udržet, v některých případech za použití nižších dávek léčivého přípravku obsahujícího kortikosteroid než předtím, čímž se snižuje riziko nežádoucích účinků v důsledku dlouhodobé léčby. Má se za to, že hydrokortison s řízeným uvolňováním nabízí klinický přínos spočívající v tom, že umožňuje dávkování, které napodobuje každodenní rytmus přirozené sekrece kortizolu. Hlášené nežádoucí účinky přípravku Efmody odpovídají účinkům, které se očekávají u hydrokortisonu podávaného ústy. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Efmody převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Efmody?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Efmody, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienti.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Efmody průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Efmody jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Efmody

Další informace o přípravku Efmody jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.