



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refixia (*nonakog beta pegol*)

Přehled pro přípravek Refixia a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Refixia a k čemu se používá?

Refixia je léčivý přípravek, který se používá k léčbě a k prevenci krvácení u pacientů s hemofilí B, což je dědičná porucha krvácivosti způsobená nedostatkem faktoru IX, bílkoviny potřebné k zastavení krvácení.

Přípravek Refixia obsahuje léčivou látku nonakog beta pegol.

Jak se přípravek Refixia používá?

Výdej přípravku Refixia je vázán na lékařský předpis. Léčba má probíhat pod dohledem lékaře se zkušenostmi s léčbou hemofilie.

Přípravek Refixia se podává injekcí do žíly. Dávka a frekvence léčby závisejí na tom, zda se přípravek Refixia používá k léčbě krvácení nebo k jeho prevenci, nebo ke zmírnění krvácení během chirurgického zákroku, a dále na rozsahu a lokalizaci krvácení a na tělesné hmotnosti pacienta.

Pacienti nebo jejich pečující osoby mohou po patřičném zaškolení podávat přípravek Refixia doma sami. Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

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

Jak přípravek Refixia působí?

Pacienti s hemofilí B trpí nedostatkem faktoru IX, což je bílkovina, která je nezbytná pro normální srážení krve, a v důsledku toho snadno krvácejí. Léčivá látka v přípravku Refixia, nonakog beta pegol, působí v těle stejným způsobem jako lidský faktor IX. Nahrazuje chybějící faktor IX, a napomáhá tak srážení krve a zajišťuje dočasnou kontrolu krvácení.



Jaké přínosy přípravku Refixia byly prokázány v průběhu studií?

Bylo prokázáno, že přípravek Refixia je účinný jak při léčbě krvácivých epizod, tak při udržování jejich nízkého počtu.

Ve studii zahrnující 74 dospělých a dospívajících ve věku od 13 let se u 29 pacientů, kterým byl podáván přípravek Refixia jednou týdně v rámci preventivní léčby, vyskytla přibližně jedna krvácivá příhoda za rok a 15 pacientů užívajících přípravek Refixia k léčbě krvácení „v případě potřeby“ mělo přibližně 16 krvácivých epizod ročně. Pokud došlo ke krvácení, byl přípravek Refixia navíc hodnocen jako výborný nebo dobrý při léčbě přibližně 92 % krvácivých příhod. Celkem 87 % krvácivých příhod odeznělo po podání jedné injekce přípravku Refixia.

Ve druhé studii, do které bylo zařazeno 25 dětí ve věku do 13 let, které byly dříve léčeny jinými přípravky s faktorem IX, byl všem pacientům podáván přípravek Refixia jednou týdně v rámci preventivní léčby. Po jednom roce léčby vykazovali pacienti přibližně jednu krvácivou příhodu za rok. Přípravek Refixia byl hodnocen jako výborný nebo dobrý při léčbě přibližně 93 % krvácivých příhod. Přibližně 86 % krvácivých příhod odeznělo po podání jedné injekce. Studie rovněž poskytla údaje o dlouhodobém používání přípravku Refixia. Během až 8 let léčby přípravkem Refixia byla průměrná roční míra krvácení 0,9 krvácení za rok. Přípravek Refixia byl hodnocen jako výborný nebo dobrý při léčbě přibližně 89 % krvácivých příhod. Přibližně 82 % krvácivých příhod odeznělo po podání jedné injekce přípravku Refixia.

Ve třetí studii, do které bylo zařazeno 50 dětí mladších 7 let, které předtím nebyly léčeny jinými přípravky s faktorem IX, byl přípravek Refixia podáván jednou týdně v rámci preventivní léčby. Během až 6 let léčby přípravkem Refixia byla průměrná roční míra krvácení 0,7 krvácení za rok. Přípravek Refixia byl hodnocen jako výborný nebo dobrý při léčbě přibližně 96 % krvácivých příhod. Přibližně 91 % krvácivých příhod odeznělo po podání jedné injekce přípravku Refixia.

Z výsledků obou studií u dětí rovněž vyplynulo, že přibližně po 6 letech léčby přípravkem Refixia dosáhli pacienti stabilních hladin faktoru IX, které se pohybovaly v rozmezí očekávaném u pacientů s mírnou hemofilií.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Refixia?

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

V souvislosti s přípravkem Refixia se (alergické) reakce z přecitlivělosti vyskytují méně často (mohou postihovat až 1 pacienta ze 100) a mohou zahrnovat: otok, pálení a štípání v místě vpichu, třesavku, zrudnutí, svědivou vyrážku, bolest hlavy, kopřivku, nízký krevní tlak, letargii, nauzeu (pocit na zvracení) a zvracení, neklid, zrychlenou srdeční činnost, tlak na prsou a sípání. V některých případech se tyto reakce mohou stát závažnými.

U některých pacientů, kteří užívají léčivé přípravky s faktorem IX, se mohou vytvořit inhibitory (protilátky) proti tomuto faktoru, které způsobí, že léčivý přípravek přestane účinkovat a ztratí kontrolu nad krvácením. Léčivé přípravky s faktorem IX mohou potenciálně způsobit potíže v důsledku vytvoření krevních sraženin v krevních cévách.

Přípravek Refixia nesmějí užívat pacienti s alergií na nonakog beta pegol nebo na kteroukoli složku tohoto přípravku ani pacienti se známou alergií na křeččí bílkoviny.

Na základě čeho byl přípravek Refixia schválen?

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Refixia převyšují jeho rizika, a proto doporučila, aby byl schválen k použití v EU.

Studie prokázaly, že přípravek Refixia je účinný v prevenci a léčbě krvácivých příhod u pacientů s hemofilií B a jeho bezpečnost je srovnatelná s bezpečností ostatních přípravků s faktorem IX. Část léčivé látky v přípravku Refixia (zvané PEG) se však může po dlouhodobé léčbě hromadit (kumulovat) v těle, a to i v útvaru mozku zvaném choroidní plexus.

Dlouhodobé používání přípravku Refixia u dětí ve věku do 13 let vedlo k nízké roční míře krvácení. Kromě toho se mělo za to, že přípravek Refixia poskytuje ochranný účinek proti krvácivým příhodám, neboť vytváří stabilní hladiny faktoru IX u dětí ve věku do 13 let, kterým byl léčivý přípravek podáván k prevenci krvácení. Přípravek Refixia nebyl v minulosti schválen u dětí ve věku do 12 let vzhledem k obavám ohledně kumulace PEG v těle malých dětí. Komplexní údaje ze studií, včetně údajů o dlouhodobém užívání, neprokázaly žádnou souvislost s nežádoucími účinky na nervový systém v důsledku kumulace PEG.

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

Společnost, která přípravek Refixia dodává na trh, provede studii, která bude zkoumat možné účinky kumulace PEG na choroidní plexus v mozku a další orgány.

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

Další informace o přípravku Refixia

Přípravku Refixia bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 2. června 2017.

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

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 07-2023.