EMA/454740/2024
EMEA/H/C/004883

Esperoct (*turoctocog alfa pegol*)

En oversigt over Esperoct og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Esperoct, og hvad anvendes det til?

Esperoct er et lægemiddel, der bruges til at behandle og forebygge blødning hos børn, unge og voksne med hæmofili A, en arvelig blødersygdom, der skyldes mangel på faktor VIII, et protein, der hjælper blodet med at størkne.

Esperoct indeholder det aktive stof turoctocog alfa pegol.

Hvordan anvendes Esperoct?

Esperoct fås kun på recept, og behandling bør indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af hæmofili.

Esperoct gives ved injektion i en vene. Dosering, hyppighed og behandlingsvarighed afhænger af patientens alder, om det skal anvendes til behandling eller til forebyggelse af blødning, sygdommens sværhedsgrad, blødningsomfang og sted samt patientens tilstand og vægt. Patienten eller dennes omsorgsperson kan selv injicere Esperoct derhjemme efter at have fået passende instruktion heri.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Esperoct, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Esperoct?

Patienter med hæmofili A mangler proteinet faktor VIII, der er nødvendigt for, at blodet kan størkne normalt. De har derfor let til blødning. Det aktive stof i Esperoct, turoctocog alfa pegol, virker på samme måde i kroppen som kroppens egen faktor VIII. Det erstatter den manglende faktor VIII og får derfor blodet til at størkne, så der opnås midlertidig kontrol med blødningsforstyrrelsen.

En del af det aktive stof er "pegyleret". Det vil sige, at et kemikalie kaldet polyethylenglycol (PEG) er tilsat for at hjælpe lægemidlet med at forblive i kroppen i længere tid og dermed forlænge dets virkning.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Esperoct?

Studier har vist, at Esperoct er effektivt til at forebygge og behandle blødningsepisoder hos patienter med svær hæmofili.

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, 2024. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

I et studie blandt patienter mellem 12 og 66 år, havde 175 patienter, der fik Esperoct hver 4. dag eller to gange om ugen som forebyggende behandling, gennemsnitligt ca. 4 blødningsepisoder om året, og nåede dermed studiets mål, som var under 8,5 episoder om året. Når der opstod blødningsepisoder, kunne de behandles med én eller to yderligere injektioner i 94 % af tilfældene.

Yderligere tolv patienter i dette studie fik ikke forebyggende behandling, men fik Esperoct til at behandle de blødninger, der opstod. Disse patienter havde i gennemsnit ca. 32 blødningsepisoder om året, og med Esperoct lykkedes det at standse deres blødninger i 97 % af tilfældene efter 1 eller 2 injektioner.

I et andet studie blandt 68 børn under 12 år, der tidligere fik andre faktor VIII-lægemidler, førte Esperoct givet som forebyggende behandling til ca. 2 blødningsepisoder om året i hoveddelen af studiet, der varede 26 uger. I en langvarig forlængelse af det andet studie oplevede børn et anslået gennemsnit på mindre end 1 blødningsepisode om året. Alle blødninger blev effektivt behandlet med yderligere doser Esperoct.

I et tredje hovedstudie blandt 81 børn under 6 år, der ikke tidligere havde fået faktor VIII-lægemidler, oplevede børnene et anslået gennemsnit på 1,8 blødningsepisoder pr. år. 93 % af blødningerne blev vellykket behandlet med Esperoct.

Hvilke risici er der forbundet med Esperoct?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Esperoct fremgår af indlægssedlen.

Der kan forekomme overfølsomhedsreaktioner (allergiske reaktioner) med Esperoct. Disse er ikke almindelige (kan forekomme hos op til 1 ud af 100 personer) og kan i nogle tilfælde blive alvorlige. Disse omfatter hævelse, brændende og stikkende fornemmelse på indstiksstedet, kulderystelser, rødme af huden, kløende udslæt, hovedpine, nældefeber, lavt blodtryk, sløvhed, kvalme og opkastning, rastløshed, hurtig hjerterytme, trykken for brystet, stikkende fornemmelse og hvæsende vejrtrækning.

Meget sjældent kan patienter udvikle antistoffer mod hamsterproteinet i lægemidlet og få allergiske reaktioner. Esperoct må ikke anvendes hos patienter, der er allergiske over for hamsterproteiner.

Efter behandling med faktor VIII-lægemidler, herunder Esperoct, kan nogle patienter danne inhibitorer (antistoffer) mod faktor VIII, hvilket får lægemidlet til at holde op med at virke og resulterer i et tab af blødningskontrol. I disse tilfælde bør man kontakte en specialafdeling for hæmofili.

I kliniske forsøg udviklede ca. en tredjedel af tidligere ubehandlede patienter, der startede med Esperoct, og som ikke udviklede inhibitorer mod faktor VIII, antistoffer mod PEG-delen af det aktive stof. Dette førte til nedsat faktor VIII-aktivitet, hvilket medførte tab af blødningskontrol hos nogle af disse patienter. Faktor VIII-aktivitetsniveauerne blev normale igen hos alle patienter, der fortsatte med at modtage behandling med Esperoct.

Hvorfor er Esperoct godkendt i EU?

Studier har vist, at Esperoct er effektivt til at forebygge og behandle blødning hos voksne og børn med hæmofili A. Eftersom Esperoct er "pegyleret", kan patienter, der får dette lægemiddel, også nøjes med færre eller mindre hyppige injektioner, end de ville skulle have med konventionelle faktor VIII-lægemidler.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Esperoct opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Esperoct anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Esperoct, vil gennemføre et studie af de mulige virkninger af PEG-ophobning i choroidea plexus i hjernen og andre væv og organer.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Esperoct anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Esperoct løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Esperoct vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Esperoct

Esperoct fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 20. juni 2019.

Yderligere information om Esperoct findes på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esperoct.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 10-2024.