



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/684724/2012
EMA/H/C/002208

EPAR - sammendrag for offentligheden

Krystexxa pegloticase

Dette er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Krystexxa. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om anvendelsesbetingelserne for Krystexxa.

Hvad er Krystexxa?

Krystexxa er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof pegloticase. Det leveres som et koncentrat, der efter opløsning indgives ved infusion (drop i en vene).

Hvad anvendes Krystexxa til?

Krystexxa anvendes til behandling af voksne patienter med svær, kronisk (langvarig) toføs urinsyregigt. Ved denne sygdom er blodets indhold af urinsyre for højt. Urinsyren udkrystalliserer sig derfor i leddene og danner tophi (gigtknuder), som medfører smerter og beskadigelse af leddene. Krystexxa anvendes kun til patienter, hos hvem urinsyreindholdet ikke kan kontrolleres med selv maksimale doser af de sædvanlige lægemidler mod sygdommen (xanthinoxidasehæmmere), eller som ikke må få sådanne lægemidler.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Hvordan anvendes Krystexxa?

Behandling med Krystexxa bør gives under opsyn af en læge med erfaring i behandling af svær kronisk urinsyregigt. Der skal forefindes genoplivningsudstyr på behandlingsstedet.

Krystexxa gives som en infusion i en vene hver anden uge, sædvanligvis i en dosis på 8 mg. Infusionen gives langsomt i løbet af mindst to timer. Alle patienter overvåges for eventuelle reaktioner under infusionen og i mindst én time derefter. For at mindske risikoen for sådanne reaktioner får patienterne andre lægemidler før behandlingen med Krystexxa.



Reaktioner forekommer oftest hos patienter, der udvikler antistoffer (proteiner, der produceres af immunsystemet, kroppens naturlige forsvar). Sådanne antistoffer mindsker behandlingens virkning. Indholdet af urinsyre måles derfor før hver infusion, og lægen bør kun fortsætte behandlingen med Krystexxa, så længe patienterne har fordel af behandlingen og har et urinsyreindhold i blodet under tærskelværdien på 6 mg/dl. Mens patienterne er i behandling med Krystexxa, bør de undgå at bruge anden medicin, der sænker urinsyreindholdet. Dette er for at give mulighed for klart at bedømme virkningen af Krystexxa.

Yderligere oplysninger om brugen af Krystexxa fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Krystexxa?

Det aktive stof i Krystexxa, pegloticase, indeholder enzymet uricase. Uricase nedbryder urinsyre til et andet stof, allantoin, som kan udskilles af kroppen i urinen. Derved mindskes blodets indhold af urinsyre. Når urinsyreindholdet kommer under 6 mg/dl, kan krystallerne i leddene opløses, så gigtknuderne langsomt bliver mindre.

Uricase i Krystexxa fremstilles ved "rekombinant dna-teknologi": Det produceres af en bakterie, der har fået indsat et gen (dna), som gør den i stand til at producere uricase. I Krystexxa er uricase bundet til det kemiske stof polyethylenglycol (PEG), der nedsætter den hastighed, hvormed uricase udskilles fra kroppen, så det virker i længere tid.

Hvordan blev Krystexxa undersøgt?

Virkningerne af Krystexxa blev først afprøvet i forsøgsmodeller, inden de blev undersøgt hos mennesker.

Krystexxa blev undersøgt i to hovedundersøgelser med 225 patienter med svær toføs urinsyregigt, hos hvem allopurinol, der er en xanthinoxidasehæmmer, ikke havde været i stand til at kontrollere urinsyreindholdet eller ikke kunne anvendes på grund af bivirkninger. I en seks måneders periode blev Krystexxa givet i en dosis af 8 mg hver anden eller hver fjerde uge og sammenlignet med placebo (virkningsløs behandling). Virkningen blev hovedsagelig bedømt på det antal patienter, der viste vedholdende respons på behandlingen. Herved forstås, at urinsyreindholdet i blodet var under 6 mg/dl mindst 80 % af tiden både i undersøgelsens tredje og sjette måned.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Krystexxa?

Det blev påvist, at Krystexxa var mere effektivt end placebo til at nedsætte urinsyreindholdet. Krystexxa sænkede hurtigt urinsyreindholdet, men hos over halvdelen af patienterne aftog virkningen efter få uger. I alt var der vedvarende respons hos 42 % af de patienter (36 ud af 85), der fik Krystexxa hver anden uge, og hos 35 % (29 ud af 84) af dem, der fik Krystexxa hver fjerde uge. Placebo var ikke effektivt hos nogen af patienterne. Når Krystexxa blev givet hver anden uge, medførte det færre reaktioner på infusionen, end når det blev givet hver fjerde uge.

Hvilken risiko er der forbundet med Krystexxa?

De hyppigste alvorlige bivirkninger med Krystexxa er anafylaksi (en svær allergisk reaktion), der optrådte hos 7 ud af hver 100 patienter, infusionsreaktioner (herunder rødme, udslæt, kløe, svedtendens, brystmerter, vejrtrækningsbesvær, kulderystelser og blodtrykstigning), der optrådte hos ca. 26 ud af hver 100 patienter, samt opblussen af urinsyregigt, der hovedsagelig forekom de første tre måneder af behandlingstiden.

Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger med Krystexxa fremgår af indlægssedlen.

Krystexxa må ikke anvendes hos personer, der er overfølsomme (allergiske) over for pegloticase eller andre af indholdsstofferne, eller hos personer med den sjældne blodsygdom favisme (glukose-6-fosfat dehydrogenase-mangel) eller lignende sygdomme.

Hvorfor blev Krystexxa godkendt?

CHMP konkluderede, at Krystexxa var meget effektivt til at nedsætte indholdet af urinsyre. Skønt der kan være alvorlige bivirkninger (såsom infusionsreaktioner og opblussen af urinsyregigt), blev disse anset for at være håndterbare. Udvalget fandt, at Krystexxa imødekom et uopfyldt behov hos svært angrebne patienter, der ikke kan behandles effektivt med konventionelle metoder, da der ikke foreligger andre behandlingsmuligheder. CHMP besluttede derfor, at fordelene ved Krystexxa opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af en markedsføringstilladelse for Krystexxa.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri anvendelse af Krystexxa?

Den virksomhed, der fremstiller Krystexxa, skal udføre en langtidsundersøgelse af lægemidlets sikkerhed, herunder sikkerheden og virkningen hos patienter, der ophører med behandlingen og senere genoptager den.

Andre oplysninger om Krystexxa

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Krystexxa den 8. januar 2013.

Den fuldstændige EPAR for Krystexxa findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Krystexxa, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 01-2013.