



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refixia (*nonacog betapegol*)

En oversigt over Refixia, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Refixia, og hvad anvendes det til?

Refixia er et lægemiddel til behandling og forebyggelse af blødning hos patienter med hæmofili B, en arvelig blødersygdom, der skyldes mangel på faktor IX, et protein, som er nødvendigt for at blodet kan størkne på blødningsstedet.

Refixia indeholder det aktive stof nonacog betapegol.

Hvordan anvendes Refixia?

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

Refixia gives som injektion i en vene. Dosen og hyppigheden af behandlingen afhænger af, om Refixia anvendes til at behandle eller forebygge blødning eller til at mindske blødning under operation, samt af blødningens omfang og placering og patientens legemsvægt.

Patienten eller dennes omsorgsgiver kan selv injicere Refixia i hjemmet efter at være blevet behørigt instrueret heri. De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

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

Hvordan virker Refixia?

Patienter med hæmofili B mangler proteinet faktor IX, der er nødvendigt for blodets normale størkning. Derfor får de let blødninger. Det aktive stof i Refixia, nonacog betapegol, virker på samme måde i kroppen som kroppens egen faktor IX. Det erstatter den manglende faktor IX og medvirker derved til blodets størkning, så der opnås midlertidig kontrol med blødningen.

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



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Refixia?

Refixia er påvist at være egnet både til at behandle blødningsepisoder og til at holde antallet af episoder nede.

I et studie blandt 74 voksne og unge over 13 år havde 29 patienter, der fik Refixia som en ugentlig forebyggende behandling, ca. 1 blødningsepisode om året, mens 15 patienter, der fik Refixia til behandling af blødning efter behov, havde ca. 16 blødningsepisoder om året. Når blødning forekom, blev Refixia desuden bedømt til at være fremragende eller godt som behandlingsmiddel i forbindelse med ca. 92 % af blødningsepisoderne. 87 % af blødningsepisoderne blev løst med én injektion af Refixia.

I det andet studie, der fandt sted blandt 25 børn under 13 år, der tidligere havde været under behandling med andre faktor IX-lægemidler, fik alle patienter Refixia som en ugentlig forebyggende behandling. Efter ét års behandling havde patienterne ca. 1 blødningsepisode om året. Refixia blev bedømt til at være fremragende eller godt som behandlingsmiddel i forbindelse med ca. 93 % af blødningsepisoderne. Ca. 86 % af blødningsepisoderne blev løst med én indsprøjtning. Studiet gav også data om den langvarige anvendelse af Refixia. I løbet af op til 8 års behandling med Refixia var den gennemsnitlige årlige blødningsrate 0,9 blødninger om året. Refixia blev bedømt til at være fremragende eller godt som behandlingsmiddel i forbindelse med ca. 89 % af blødningsepisoderne. Ca. 82 % af blødningsepisoderne blev løst med én injektion af Refixia.

I et tredje studie blandt 50 børn under 7 år, som ikke tidligere havde været under behandling med andre faktor IX-lægemidler, blev Refixia givet som en ugentlig forebyggende behandling. I løbet af op til 6 års behandling med Refixia var den gennemsnitlige årlige blødningsrate 0,7 blødninger om året. Refixia blev bedømt til at være fremragende eller godt som behandlingsmiddel i forbindelse med ca. 96 % af blødningsepisoderne. Ca. 91 % af blødningsepisoderne blev løst med én injektion af Refixia.

Resultaterne fra begge studier blandt børn viste også, at patienterne efter ca. 6 års behandling med Refixia opnåede stabile faktor IX-niveauer, som var inden for det forventede interval for patienter med mild hæmofili.

Hvilke risici er der forbundet med Refixia?

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

Overfølsomhedsreaktioner (allergiske reaktioner) er ikke almindelige med Refixia (kan forekomme hos op til 1 ud af 100 patienter) og kan bestå i: hævelse, brænden og stikken på injektionsstedet, kulderystelser, rødme, kløende udslæt, hovedpine, nældefeber, lavt blodtryk, sløvhed, kvalme og opkastning, rastløshed, hurtig hjerterytme, trykken for brystet og hiven efter vejret. I nogle tilfælde kan disse reaktioner blive alvorlige.

Nogle patienter, der får lægemidler med faktor IX, kan udvikle inhibitorer (antistoffer) mod faktor IX, hvilket medfører, at lægemidlet ikke længere virker, og blødningskontrollen derved mistes. Faktor IX-lægemidler kan også medføre problemer på grund af dannelsen af blodpropper i blodkarrene.

Refixia må ikke anvendes hos patienter, der er allergiske over for nonacog betapegol eller nogen af indholdsstofferne i lægemidlet, eller hos patienter med kendt allergi over for hamsterproteiner.

Hvorfor er Refixia godkendt?

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

Studier har vist, at Refixia er egnet til at forebygge og behandle blødningsepisoder hos patienter med hæmofili B, og dets sikkerhed er sammenlignelig med andre faktor IX-lægemidler. Efter langvarig behandling kan en del af det aktive stof i Refixia ("PEG") imidlertid ophobes i kroppen, herunder i væv i hjernen kaldet plexus choroideus.

Langvarig anvendelse af Refixia hos børn under 13 år resulterede i en lav årlig blødningsrate. Desuden blev Refixia anset for at beskytte mod blødningsepisoder ved at generere stabile faktor IX-niveauer hos børn under 13 år, der fik lægemidlet for at forhindre blødning. Refixia var tidligere ikke godkendt til anvendelse hos børn under 12 år grundet betænkeligheder omkring ophobningen af PEG hos små børn. Omfattende data fra studier, herunder data om langvarig anvendelse, har ikke vist nogen sammenhæng med bivirkninger på nervesystemet som følge af ophobning af PEG.

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

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

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

Øvrig information om Refixia

Refixia fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 2. juni 2017.

Yderligere information om Refixia findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/refixia

Denne oversigt blev sidst ajourført i 07-2023.