

EMA/663763/2014
EMA/H/C/003771

EPAR – sammendrag for offentligheden

Rixubis

nonacog gamma

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Rixubis. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Rixubis bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Rixubis, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Rixubis, og hvad anvendes det til?

Rixubis er et lægemiddel til behandling og forebyggelse af blødning hos patienter med hæmofili B, som er en arvelig blødningsforstyrrelse, der skyldes mangel på faktor IX. Det kan bruges hos alle patienter uanset alder og til korttids- eller langtidsbrug. Rixubis indeholder det aktive stof nonacog gamma.

Hvordan anvendes Rixubis?

Rixubis udleveres kun efter recept, og behandlingen bør iværksættes under opsyn af en læge med erfaring i behandling af hæmofili.

Rixubis leveres som et pulver med opløsningsvæske (solvens), der blandes sammen til en opløsning, som gives ved injektion i en vene. Dosis og hyppighed af behandlingen afhænger af patientens legemsvægt, og af, om Rixubis skal anvendes til behandling eller forebyggelse af blødning. Desuden afhænger det af hæmofiliens sværhedsgrad, blødningens omfang og beliggenhed og patientens alder og helbred. De nærmere oplysninger fremgår af produktresuméet, der ligeledes er en del af EPAR.

Patienten eller dennes omsorgsgiver kan selv give Rixubis i hjemmet efter at have fået passende instruktion. Fuldstændige oplysninger fremgår af indlægssedlen.



Hvordan virker Rixubis?

Patienter med hæmofili B mangler faktor IX, der er nødvendig for blodets størkning. Denne mangel medfører, at det er vanskeligt for blodet at størkne, så der opstår blødning i led, muskler eller indre organer. Det aktive stof i Rixubis, nonacog gamma, er en variant af den menneskelige faktor IX og hjælper blodet med at størkne på samme måde. Rixubis kan derfor anvendes som erstatning for den manglende faktor IX og giver midlertidig kontrol med blødningsforstyrrelsen.

Nonacog gamma udvindes ikke af blod fra mennesker, men fremstilles ved "rekombinant DNA-teknologi". Det produceres af hamsterceller, der har fået indsat et gen (DNA), som gør dem i stand til at producere den menneskelige koagulationsfaktor.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Rixubis?

Fordelene ved Rixubis til behandling og forebyggelse af blødningsepisoder er påvist i tre hovedundersøgelser med patienter med svær eller moderat svær hæmofili B. Ingen af undersøgelserne sammenlignede virkningen af Rixubis direkte med andre lægemidler. Evnen til at standse blødning blev målt på en standardskala, hvor "meget godt" betød fuldstændig lindring af smerter og ingen tegn på blødning efter en enkelt dosis af lægemidlet, og "god" betød, at en enkelt dosis lindrede smerterne og medførte tegn på bedring, selv om det kunne være nødvendigt med flere doser til at få symptomerne til at svinde helt.

I den første undersøgelse, hvor der deltog 73 patienter i alderen 12-59 år, blev der behandlet 249 blødningsepisoder med Rixubis. Behandlingens evne til at standse blødningsepisoderne blev bedømt som meget god i 41 % af tilfældene, og god i 55 %. Vedrørende forebyggelse af blødning var den gennemsnitlige forekomst af blødninger under behandlingen 4,26 blødninger årligt, sammenholdt med et gennemsnit på ca. 17 årligt før undersøgelsen. I en anden undersøgelse deltog 23 børn i alderen fra lige under 2 år til knap 12 år, som oplevede 26 blødningsepisoder i løbet af undersøgelsen: Behandlingen af blødningsepisoderne blev bedømt som meget god i 50 % af tilfældene og god i 46 %, og den gennemsnitlige forekomst af blødninger blev mindsket fra 6,8 til 2,7 blødninger årligt. I en tredje undersøgelse blev Rixubis givet til 14 operationspatienter. Ved behandling med Rixubis forblev blodtabet under operationen på samme niveau som den, der forventes hos patienter uden hæmofili B.

Vurderingen af disse undersøgelser viste desuden, at Rixubis fordeles i kroppen på samme måde som et andet godkendt faktor IX-produkt.

Hvilke risici er der forbundet med Rixubis?

De hyppigste bivirkninger ved Rixubis (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er smagsforstyrrelser (dysgeusi) og smerter i lemmerne. I sjældne tilfælde kan der forekomme overfølsomhedsreaktioner (allergi) med hævelse af vævet under huden (angioødem), brænden og stikken på injektionsstedet, kulderystelser, rødmen, kløende udslæt, hovedpine, nældefeber, for lavt blodtryk (hypotension), træthed eller rastløshed, kvalme eller opkastning, hurtig hjerterytme (takykardi), trykken for brystet, hiven efter vejret eller snurrende fornemmelser. I nogle tilfælde kan reaktionerne være svære (anafylakse) og medføre pludseligt og farligt blodtryksfald. Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Rixubis fremgår af indlægssedlen.

Rixubis må ikke anvendes hos patienter, der er overfølsomme (allergiske) over for nonacog gamma eller andre af indholdsstofferne eller vides at være allergiske over for hamsterproteiner.

Hvorfor blev Rixubis godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede, at fordelene ved Rixubis opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU. Udvalget fandt, at Rixubis er påvist at være effektivt til forebyggelse og behandling af blødningsepisoder hos voksne og børn med hæmofili B, og at det også var effektivt til at muliggøre sikre operationer hos sådanne patienter. Sikkerhedsprofilen blev fundet acceptabel i betragtning af de gavnlige virkninger.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Rixubis?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Rixubis anvendes så sikkert som muligt. På baggrund af denne er der anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for Rixubis, herunder passende forholdsregler, som patienter og sundhedspersonale skal følge.

Yderligere oplysninger fremgår af [resuméet af risikostyringsplanen](#).

Andre oplysninger om Rixubis:

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Rixubis den 19 december 2014.

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

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 01-2015.