

EMA/654233/2017
EMA/H/C/02493

EPAR – sammendrag for offentligheden

Voncento

human koagulationsfaktor VIII/human von Willebrand-faktor

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Voncento. 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 Voncento bør anvendes.

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

Hvad er Voncento, og hvad anvendes det til?

Voncento er et lægemiddel, der anvendes til behandling og forebyggelse af blødning hos patienter med von Willebrands sygdom (en arvelig blødersygdom, der skyldes mangel på von Willebrand-faktor), når et andet lægemiddel kaldet desmopressin ikke virker eller ikke kan anvendes. Det anvendes også til behandling og forebyggelse af blødning hos patienter med hæmofili A (en arvelig blødersygdom, der skyldes mangel på faktor VIII). Det indeholder de to aktive stoffer human koagulationsfaktor VIII og human von Willebrand-faktor.

Hvordan anvendes Voncento?

Voncento udleveres kun efter recept, og behandlingen bør iværksættes af en læge med erfaring i behandling af patienter med blødersygdomme.

Voncento leveres som et pulver med et solvens, der blandes sammen til en opløsning, som gives ved injektion eller infusion (drop) i en vene. Voncento gives som langsom injektion eller infusion i en vene. Hvis der opstår bivirkninger under injektionen eller infusionen, kan det være nødvendigt at give lægemidlet langsommere eller at standse. Dosis og behandlingsvarighed afhænger af, om Voncento skal anvendes til behandling eller forebyggelse af blødning eller under en operation, og om det er til patienter med hæmofili A eller von Willebrands sygdom. Dosis og behandlingsvarighed afhænger desuden af patientens faktor VIII-niveau, sygdommens sværhedsgrad, blødningens omfang og lokalisering samt patientens tilstand og kropsvægt.

Patienter eller deres omsorgsgivere kan selv indsprøjte eller indgive lægemidlet som en infusion i hjemmet, hvis deres læge anser det for hensigtsmæssigt og de har fået tilstrækkelig instruktion. De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Voncento?

De aktive stoffer i Voncento, human koagulationsfaktor VIII og human von Willebrand-faktor, er koagulationsfaktorer (stoffer, der hjælper blodet med at størkne). Patienter med hæmofili A mangler faktor VIII, og patienter med von Willebrands sygdom mangler von Willebrand-faktor. Dette medfører blodstørkningsproblemer, så der opstår blødninger i led, muskler eller indre organer. Voncento anvendes som erstatning for de manglende koagulationsfaktorer og giver midlertidig kontrol med blødersygdommen.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Voncento?

Voncento blev undersøgt i én hovedundersøgelse med 22 patienter (herunder unge) med svær von Willebrands sygdom. Undersøgelsen så nærmere på Voncentos evne til at standse ikkeoperationsrelaterede blødningsepisoder, eller dets virkning som forebyggende behandling. Voncento blev ikke sammenlignet med anden behandling. Patienterne var i forvejen blevet behandlet med desmopressin eller von Willebrand-faktor og havde i den første del af undersøgelsen fået Voncento i 12 måneder. Voncentos evne til at standse blødningen blev målt på en punktskala. Virkningen af Voncento blev bedømt som udmærket ved ca. 92 % (371 ud af 405) af blødningsepisoderne og god ved ca. 7 % (27 ud af 405) af episoderne. Anden del af undersøgelsen, som varede yderligere 12 måneder, så nærmere på Voncentos evne til at forebygge blødningsepisoder hos 8 patienter, som havde fået Voncento under første del af undersøgelsen. Denne del af undersøgelsen viste, at det gennemsnitlige antal blødningshændelser hos de patienter, som fik forebyggende behandling, faldt til mellem 18 og 82 hændelser sammenlignet med mellem 1 og 6 hændelser i året inden, den forebyggende behandling blev indledt.

Fordelene ved Voncento til forebyggelse og behandling af blødningsepisoder ved hæmofili A blev påvist i en undersøgelse med 81 patienter, der tidligere var blevet behandlet med human koagulationsfaktor VIII. I de tilfælde, hvor Voncento blev anvendt til behandling af blødning i denne undersøgelse, blev det bedømt som udmærket ved 60 % (396 ud af 656) af blødningsepisoderne og som godt ved 36 % (236 ud af 656) af blødningsepisoderne. Tilsvarende bedømmelsesresultater sås, når Voncento blev anvendt til forebyggelse. Af de 37 operationer, der blev foretaget i løbet af undersøgelsen, var 12 større operationer, og kun i et enkelt tilfælde var blodtabet større end forventet. Blodtransfusion var nødvendig hos i alt fem patienter, som alle fik foretaget større knæoperationer.

Hvilke risici er der forbundet med Voncento?

Den hyppigste bivirkning ved Voncento (som optræder hos mere end 1 ud af 10 personer) er hovedpine. Andre hyppige bivirkninger (som optræder hos op til 1 ud af 10 personer) er overfølsomhedsreaktioner og feber. Ikke almindelige bivirkninger (som optræder hos mellem 1 og 10 ud af 1 000 personer) er styrkning i blodkar, smagsforstyrrelser og unormale resultater ved leverfunktionsprøver.

Der er desuden den risiko, at visse patienter danner antistoffer (inhibitorer) mod faktor VIII eller von Willebrand-faktor, hvilket medfører, at lægemidlet ikke længere virker og kontrollen med blødning dermed tabes.

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

Hvorfor blev Voncento godkendt?

Agenturet konkluderede, at fordelene ved Voncento opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU. CHMP bemærkede, at Voncento havde vist sig effektivt til at behandle og forebygge blødning hos patienter med hæmofili A samt hos patienter med von Willebrands sygdom. Voncento var også effektivt til at forebygge og behandle operationsrelateret blødning. Med hensyn til sikkerheden var bivirkningerne sædvanligvis lette til moderate og blev anset for at være typiske for denne type lægemiddel.

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

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Voncento.

Andre oplysninger om Voncento

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Voncento den 12. august 2013.

Den fuldstændige EPAR for Voncento findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Voncento, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 10-2017.