



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267624/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*Hydrocortison*)

Übersicht über Efmody und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Efmody und wofür wird es angewendet?

Efmody ist ein Arzneimittel zur Behandlung einer Erbkrankheit, die als kongenitale Nebennierenhyperplasie (CAH) bezeichnet wird, bei Patienten ab 12 Jahren.

CAH ist „selten“, und Efmody wurde am 27. Juli 2005 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Efmody enthält den Wirkstoff Hydrocortison und ist ein „Hybrid-Arzneimittel“. Dies bedeutet, dass es einem sogenannten „Referenzarzneimittel“ ähnlich ist, das den gleichen Wirkstoff enthält. Efmody wird jedoch anders angewendet und ist als Kapseln in verschiedenen Stärken erhältlich, die zur Freisetzung des Wirkstoffs über einen längeren Zeitraum formuliert sind. Das Referenzarzneimittel für Efmody-Kapseln sind Hydrocorton-Tabletten.

Wie wird Efmody angewendet?

Efmody ist als Kapseln mit veränderter Wirkstofffreisetzung und nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte einem Arzt eingeleitet werden, der Erfahrung in der Behandlung von CAH hat.

Die empfohlene Dosis Efmody beträgt bei Erwachsenen und Jugendlichen, die die Wachstumsphase abgeschlossen haben, 15 mg bis 25 mg täglich. Bei Jugendlichen, die die Wachstumsphase noch nicht abgeschlossen haben, richtet sich die Dosis nach dem Gewicht und der Körpergröße. Die Tagesdosis kann je nach Bedarf und individuellem Ansprechen angepasst werden. Zwei bis drei Viertel der täglichen Dosis werden abends vor dem Schlafengehen, mindestens zwei Stunden nach der letzten Mahlzeit, und die restliche Dosis morgens mindestens eine Stunde vor einer Mahlzeit eingenommen.

Unter Umständen müssen die Patienten in Phasen psychischer oder körperlicher Belastung, einschließlich bei einer Operation oder Infektionen, ein zusätzliches Hydrocortison-Arzneimittel einnehmen.

Weitere Informationen zur Anwendung von Efmody entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.



Wie wirkt Efmody?

Personen mit CAH sind nicht in der Lage, das natürliche Kortikosteroidhormon Cortisol (und in manchen Fällen ein weiteres Hormon, Aldosteron) ausreichend zu produzieren. Cortisol wird normalerweise in den Nebennieren (kleine Drüsen unmittelbar über den Nieren) produziert und hilft bei der Regulierung anderer Hormone, der Reaktion des Körpers auf Stress sowie dem Gleichgewicht von Salzen und Wasser im Körper. Außerdem leiden diese Personen unter einer Zunahme der männlichen Geschlechtshormone, was zu Wachstums- und Fertilitätsproblemen führen kann.

Efmody enthält Hydrocortison, eine synthetische Form von Cortisol, die es langsam im Darm freisetzt, um das natürliche Hormon im Körper zu ersetzen, und zwar nach einem mit der natürlichen täglichen Sekretion von Cortisol ähnlichen Muster. Auf diese Weise wird ein normaleres Hormongleichgewicht wiederhergestellt und andere Aspekte der Erkrankung minimiert.

Welchen Nutzen hat Efmody in den Studien gezeigt?

Der Nutzen von Efmody bei CAH wurde in einer Hauptstudie bei 122 Patienten mit CAH nachgewiesen. Efmody wurde mit der Standardbehandlung mit anderen Kortikosteroid-Arzneimitteln verglichen. Hauptindikator für die Wirksamkeit war ein Score auf der Basis der Konzentrationen von 17-OHP, einer Hormonsubstanz, die auf eine Erhöhung der männlichen Geschlechtshormone bei unkontrollierter CAH hinweist. Ein Rückgang dieses Scores im Verlauf der Studie zeigte eine bessere Kontrolle. In den 24 Wochen der Studie sank dieser Score bei den mit Efmody behandelten Patienten um 0,403, verglichen mit 0,172 bei Patienten, die die Standardbehandlung erhielten. Obwohl dieser Unterschied nicht ausreichte, um deutlich zu zeigen, dass Efmody besser wirkt als die Standardbehandlung, deuteten Messungen auch auf eine bessere Kontrolle des 17-OHP-Spiegels am Morgen hin.

Unterstützende Daten aus einer laufenden Fortsetzungsstudie ließen annehmen, dass die CAH-Kontrolle mit Efmody langfristig aufrechterhalten werden konnte.

Welche Risiken sind mit Efmody verbunden?

Eine sehr häufige Nebenwirkung von Efmody (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen kann) ist Müdigkeit. Weitere häufige Nebenwirkungen von Efmody (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Kopfschmerzen, gesteigerter Appetit, Schwindel und Gewichtszunahme. Eine sehr häufige schwerwiegende Nebenwirkung ist eine akute Nebenniereninsuffizienz (wenn ein Kortikosteroid-Arzneimittel nicht in der Lage ist, ausreichend Hydrocortison zu liefern, um auf einen erhöhten Cortisolbedarf bei Stress oder Infektionen zu reagieren, was sich durch Erbrechen oder starkes Unwohlsein zeigen kann).

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Efmody berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Efmody in der EU zugelassen?

Efmody bot eine angemessene Kontrolle von CAH, und die Gesamtdaten deuteten auf ein verbessertes Hormongleichgewicht hin. Die Langzeitdaten deuteten darauf hin, dass dies in einigen Fällen durch niedrigere Kortikosteroiddosen als zuvor aufrechterhalten und damit das Risiko für Nebenwirkungen einer Langzeitbehandlung gesenkt werden konnte. Hydrocortison mit modifizierter Wirkstofffreisetzung wurde als klinisch wertvoll erachtet, da es eine Dosierung ermöglicht, die dem täglichen Rhythmus der natürlichen Kortisolsekretion ähnelt. Die berichteten Nebenwirkungen von Efmody stimmen mit denen überein, die für oral eingenommenes Hydrocortison zu erwarten sind. Die Europäische Arzneimittel-

Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Efmody gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Efmody ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Efmody, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Efmody kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Efmody werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Efmody

Weitere Informationen über Efmody finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.