



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/454740/2024
EMA/H/C/004883

Esperoct (*Turoctocog alfa pegol*)

Übersicht über Esperoct und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Esperoct und wofür wird es angewendet?

Esperoct ist ein Arzneimittel zur Behandlung und Vorbeugung von Blutungen bei Kindern, Jugendlichen und Erwachsenen mit Hämophilie A, einer erblichen Blutungsstörung, die durch den Mangel an Faktor VIII, einem Protein, das die Blutgerinnung unterstützt, verursacht wird.

Esperoct enthält den Wirkstoff Turoctocog alfa pegol.

Wie wird Esperoct angewendet?

Esperoct ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung muss von einem Arzt eingeleitet werden, der Erfahrung in der Behandlung von Hämophilie besitzt.

Esperoct wird als Injektion in eine Vene verabreicht. Dosis, Häufigkeit und Dauer der Behandlung hängen vom Alter des Patienten, davon, ob es zur Behandlung oder Vorbeugung von Blutungen angewendet wird, sowie von der Schwere der Hämophilie, dem Ausmaß und dem Ort der Blutung sowie vom Zustand und dem Gewicht des Patienten ab. Patienten oder ihre Betreuungspersonen können Esperoct selbst zu Hause injizieren, sobald sie angemessen geschult wurden.

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

Wie wirkt Esperoct?

Patienten mit Hämophilie A mangelt es an Faktor VIII, einem Protein, das für die normale Blutgerinnung erforderlich ist. Infolgedessen bluten sie leicht. Der Wirkstoff in Esperoct, Turoctocog alfa pegol, wirkt im Körper auf die gleiche Weise wie der humane Faktor VIII. Er ersetzt den fehlenden Faktor VIII und unterstützt dadurch die Blutgerinnung und ermöglicht eine vorübergehende Kontrolle der Blutungsstörung.

Ein Teil des Wirkstoffs ist „pegyliert“, wobei ein Stoff mit der Bezeichnung Polyethylenglycol (PEG) enthalten ist, um das Arzneimittel länger im Körper zu behalten und dadurch seine Wirkung zu verlängern.

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



© European Medicines Agency, 2024. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Welchen Nutzen hat Esperoct in den Studien gezeigt?

Studien haben gezeigt, dass Esperoct bei der Vorbeugung und Behandlung von Blutungsepisoden bei Patienten mit schwerer Hämophilie wirksam ist.

In einer Studie mit Patienten im Alter zwischen 12 und 66 Jahren hatten 175 Patienten, denen alle vier Tage oder zweimal wöchentlich Esperoct als vorbeugende Behandlung verabreicht wurde, im Durchschnitt vier Blutungsepisoden pro Jahr und erreichten das Studienziel, das bei weniger als 8,5 Episoden pro Jahr lag. Bei Auftreten von Blutungsepisoden wurden 94 % der Fälle mit einer oder zwei weiteren Injektionen erfolgreich behandelt.

Zwölf weitere Patienten in dieser Studie erhielten keine vorbeugende Behandlung, Esperoct wurde ihnen zur Behandlung von Blutungen „auf Anfrage“ verabreicht. Bei diesen Patienten traten durchschnittlich rund 32 Blutungsepisoden pro Jahr auf, und Esperoct stoppte die Blutungen erfolgreich in 97 % der Fälle nach einer oder zwei Injektionen.

In einer zweiten Studie mit 68 Kindern unter 12 Jahren, die zuvor andere Faktor-VIII-Arzneimittel erhalten hatten, waren bei der Gabe von Esperoct als vorbeugende Behandlung zu etwa zwei Blutungsepisoden pro Jahr während des 26-wöchigen Hauptteils der Studie zu verzeichnen. In einer langfristigen Verlängerung der zweiten Studie hatten die Kinder durchschnittlich schätzungsweise weniger als eine Blutungsepisode pro Jahr; alle Blutungen wurden erfolgreich mit zusätzlichen Dosen von Esperoct behandelt.

In einer dritten Hauptstudie, an der 81 Kinder unter 6 Jahren teilnahmen, die zuvor noch keine Faktor-VIII-Arzneimittel erhalten hatten, hatten die Kinder durchschnittlich schätzungsweise 1,8 Blutungsepisoden pro Jahr; 93 % der Blutungen wurden erfolgreich mit Esperoct behandelt.

Welche Risiken sind mit Esperoct verbunden?

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

Im Zusammenhang mit Esperoct können Überempfindlichkeitsreaktionen (allergische Reaktionen) auftreten; diese sind selten (betreffen bis zu 1 von 100 Behandelten) und können in einigen Fällen schwerwiegend werden. Sie umfassen: Schwellungen, brennendes und stechendes Gefühl an der Injektionsstelle, Schüttelfrost, Hitzegefühl, juckender Hautausschlag, Kopfschmerzen, Nesselsucht, niedriger Blutdruck, Lethargie, Übelkeit und Erbrechen, Unruhe, beschleunigter Herzschlag, Engegefühl im Brustbereich und Giemen (Atemgeräusche).

Sehr selten können Patienten Antikörper gegen Hamsterprotein in dem Arzneimittel entwickeln und allergische Reaktionen zeigen. Esperoct darf nicht bei Patienten angewendet werden, die allergisch gegen Hamsterproteine sind.

Nach einer Behandlung mit Faktor-VIII-Arzneimitteln, einschließlich Esperoct, können einige Patienten Hemmkörper (Antikörper) gegen Faktor VIII entwickeln, sodass das Arzneimittel nicht mehr wirkt und es zu einem Verlust der Blutungskontrolle kommt. In solchen Fällen sollte ein spezialisiertes Hämophilie-Zentrum aufgesucht werden.

In klinischen Studien entwickelte etwa ein Drittel der zuvor unbehandelten Patienten, die mit Esperoct begannen und keine Inhibitoren gegen Faktor VIII bildeten, Antikörper gegen den PEG-Teil des Wirkstoffs. Dies führte zu einer verminderten Faktor-VIII-Aktivität, was bei einigen dieser Patienten zu einem Verlust der Blutungskontrolle führte. Die Faktor-VIII-Aktivitätsspiegel normalisierten sich bei allen Patienten, die weiterhin mit Esperoct behandelt wurden.

Warum wurde Esperoct in der EU zugelassen?

Studien haben ergeben, dass Esperoct Blutungen bei Erwachsenen und Kindern mit Hämophilie A wirksam verhindert und behandelt. Da Esperoct „pegyliert“ ist, könnten bei Patienten, die dieses Arzneimittel erhalten, auch geringere oder weniger häufige Injektionen angewendet werden, als dies bei konventionellen Faktor-VIII-Arzneimitteln der Fall wäre.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Esperoct gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

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

Das Unternehmen, das Esperoct in Verkehr bringt, wird eine Studie zur Untersuchung der potenziellen Auswirkungen einer Anreicherung von PEG im Plexus choroideus des Gehirns und in anderen Geweben und Organen durchführen.

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

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

Weitere Informationen über Esperoct

Esperoct erhielt am 20. Juni 2019 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen über Esperoct finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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

Diese Übersicht wurde zuletzt im 10-2024 aktualisiert.