



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/76094/2014
EMA/H/C/002284

EPAR-samenvatting voor het publiek

NovoThirteen

catridecacog

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor NovoThirteen. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van NovoThirteen vast te stellen.

Wat is NovoThirteen?

NovoThirteen is een geneesmiddel dat de werkzame stof catridecacog bevat. Het is verkrijgbaar in de vorm van een poeder en een oplosmiddel waarvan een oplossing voor injectie moet worden bereid.

Wanneer wordt NovoThirteen voorgeschreven?

NovoThirteen wordt gebruikt voor de langdurige preventie van bloedingen bij patiënten met een aandoening die 'congenitale deficiëntie van subeenheid A van factor XIII' wordt genoemd. Dit is een erfelijke bloedstollingsstoornis die gekenmerkt wordt door bloedingen.

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

Hoe wordt NovoThirteen gebruikt?

De behandeling met NovoThirteen moet worden gestart onder toezicht van een arts die ervaring heeft met het behandelen van zeldzame bloedstollingsstoornissen. Vóór aanvang van de behandeling moet de aandoening aan de hand van passende tests worden bevestigd.

De aanbevolen dosis bedraagt eenmaal per maand 35 internationale eenheden (IE) per kilogram lichaamsgewicht. Deze dosis wordt toegediend in de vorm van één langzame injectie in een ader. In bepaalde situaties kan de arts, na analyse van de factor XIII-spiegels in het bloed van de patiënt, beslissen de dosis die nodig is om bloeding te voorkomen aan te passen.

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Hoe werkt NovoThirteen?

Factor XIII is een eiwit dat een rol speelt in het bloedstollingsproces. Een specifiek onderdeel van factor XIII (subeenheid A) speelt een rol bij de stabilisatie van bloedstolsels en de versterking van het stolsel. Patiënten met congenitale deficiëntie van subeenheid A van factor XIII hebben niet genoeg van deze subeenheid, of deze werkt niet goed, en dat maakt hen gevoelig voor bloedingen. De werkzame stof in NovoThirteen, catridecacog, heeft dezelfde structuur als de menselijke subeenheid A van factor XIII. NovoThirteen werkt door te zorgen dat er subeenheid A van factor XIII beschikbaar is, wat helpt om bloedingen te voorkomen bij deze patiënten. NovoThirteen werkt niet bij patiënten die onvoldoende subeenheid B van factor XIII hebben.

De subeenheid A van factor XIII in NovoThirteen wordt vervaardigd met behulp van een methode die bekendstaat als 'recombinant-DNA-techniek', en wel door gistcellen waarin een gen (DNA) is ingebracht zodat subeenheid A van factor XIII kan worden aangemaakt.

Hoe is NovoThirteen onderzocht?

NovoThirteen werd onderzocht in een hoofdonderzoek onder 41 volwassenen en kinderen ouder dan zes jaar met congenitale deficiëntie van subeenheid A van factor XIII die in het verleden behandeld waren met geneesmiddelen die factor XIII bevatten. De patiënten kregen gedurende een jaar NovoThirteen toegediend voor preventief gebruik. In het onderzoek werd gekeken naar het aantal keren dat zich bij deze patiënten bloedingen voordeden waarvoor zij behandeld moesten worden met een geneesmiddel met factor XIII, vergeleken met patiënten die geen NovoThirteen hadden gekregen, op basis van eerdere gegevens van 16 patiënten met congenitale deficiëntie van subeenheid A van factor XIII. Het onderzoek werd bij 33 van de patiënten met nog een jaar verlengd om de veiligheid van behandeling met NovoThirteen op de lange termijn te bestuderen.

De veiligheid en de werkzaamheid van NovoThirteen bij kinderen jonger dan zes jaar werden ondersteund door de voorlopige gegevens van een lopend langetermijnonderzoek waarin de patiënten NovoThirteen kregen om bloedingen te voorkomen.

Welke voordelen bleek NovoThirteen tijdens de studies te hebben?

Patiënten die NovoThirteen kregen hadden minder vaak bloedingen in vergelijking met de eerdere gegevens van patiënten die op verzoek behandeld werden met een ander geneesmiddel met factor XIII. Gemiddeld traden er per patiënt die preventief met NovoThirteen werd behandeld, ongeveer 0,15 keer per jaar bloedingen op waarvoor behandeling met factor XIII nodig was, tegenover 2,9 keer per jaar per patiënt die op verzoek behandeld werd met een ander geneesmiddel met factor XIII.

Tijdens het langetermijnonderzoek werden geen bloedingen vastgesteld bij kinderen jonger dan zes die met NovoThirteen waren behandeld.

Welke risico's houdt het gebruik van NovoThirteen in?

De meest voorkomende bijwerkingen van NovoThirteen (waargenomen bij 1 tot 10 van de 100 patiënten) zijn hoofdpijn, leukopenie (laag gehalte aan witte bloedcellen), verergerde neutropenie (laag gehalte aan neutrofielen, een soort witte bloedcel), pijn in handen en voeten, pijn op de injectieplaats, en de aanwezigheid in het bloed van antilichamen die zich aan factor XIII hechten, en van kleine eiwitfragmenten die fibrine D-dimeer worden genoemd.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen en beperkende voorwaarden.

Waarom is NovoThirteen goedgekeurd?

Het CHMP concludeerde dat de resultaten van het hoofdonderzoek in termen van werkzaamheid positief waren, aangezien tijdens de behandeling met NovoThirteen geen ernstige of levensbedreigende bloedingen optraden. Bovendien werden geen ernstige bijwerkingen waargenomen bij langdurig gebruik van NovoThirteen. Het CHMP heeft geconcludeerd dat de voordelen van NovoThirteen groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van dit middel.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van NovoThirteen te waarborgen?

Om een zo veilig mogelijk gebruik van NovoThirteen te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter van NovoThirteen veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Daarnaast verstrekt de firma die NovoThirteen in de handel brengt, aan alle artsen die het middel naar verwachting zullen voorschrijven, een informatiepakket voor hen en voor de patiënten met belangrijke informatie over het juiste gebruik van het geneesmiddel. Het betreft onder andere informatie over bewaarprocedures, omdat als het gereconstitueerde geneesmiddel (d.w.z. de oplossing voor injectie) verkeerd bewaard wordt, dit tot verhoogde niveaus geactiveerd NovoThirteen kan leiden, hetgeen een verhoogd risico van trombose (vorming van bloedstolsels in de bloedvaten) meebrengt, en informatie over toedieningsprocedures, omdat de concentratie van factor XIII in NovoThirteen verschilt van die in andere factor XIII bevattende geneesmiddelen.

Meer informatie is te vinden in de samenvatting van het risicobeheerplan.

Overige informatie over NovoThirteen

De Europese Commissie heeft op 3 september 2012 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van NovoThirteen verleend.

Het volledige EPAR voor NovoThirteen is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met NovoThirteen.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 2-2014.