



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

NovoThirteen

catridecacog

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru NovoThirteen. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru NovoThirteen.

Ce este NovoThirteen?

NovoThirteen este un medicament care conține substanța activă catridecacog. Este disponibil sub formă de pulbere și solvent pentru soluție injectabilă.

Pentru ce se utilizează NovoThirteen?

NovoThirteen se utilizează pentru prevenirea pe termen lung a sângerărilor la pacienții care prezintă o afecțiune numită „deficit congenital de subunitate A a factorului XIII”. Aceasta este o tulburare ereditară de coagulare a sângelui caracterizată prin episoade hemoragice.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează NovoThirteen?

Tratamentul cu NovoThirteen trebuie început sub supravegherea unui medic cu experiență în tratamentul tulburărilor hemoragice rare. Afecțiunea trebuie confirmată prin teste adecvate înainte de începerea tratamentului.

Doza recomandată este de 35 de unități internaționale (UI) pe kilogram de greutate corporală, o dată pe lună. Această doză se administrează în venă sub forma unei injecții unice lente. În anumite situații, medicul poate hotărî să ajusteze doza necesară pentru prevenirea sângerărilor, pe baza nivelurilor de factor XIII din sângele pacientului.



Cum acționează NovoThirteen?

Factorul XIII este o proteină implicată în procesul de coagulare a sângelui. O componentă specifică a factorului XIII, numită subunitate A, este implicată în stabilizarea cheagurilor de sânge și creșterea rezistenței cheagului. Pacienții cu deficit congenital de subunitate A a factorului XIII nu au suficientă subunitate A a factorului XIII sau aceasta nu acționează corect, ceea ce determină predispoziția acestora la sângerări. Substanța activă din NovoThirteen, catridecacogul, este similară din punct de vedere structural cu subunitatea A a factorului XIII uman. NovoThirteen acționează prin furnizarea subunității A a factorului XIII, ceea ce ajută la prevenirea sângerărilor în cazul acestor pacienți. NovoThirteen nu acționează în cazul pacienților care prezintă deficit de subunitate B a factorului XIII.

Subunitatea A a factorului XIII din NovoThirteen se produce printr-o metodă cunoscută sub denumirea de „tehnologia ADN-ului recombinant”: este produsă de celule de drojdie care au primit o genă (ADN) care le face capabile să o producă.

Cum a fost studiat NovoThirteen?

NovoThirteen a fost evaluat într-un studiu principal care a cuprins 41 de adulți și copii cu vârsta mai mare de șase ani cu deficit congenital de subunitate A a factorului XIII, care fuseseră tratați în trecut cu medicamente care conțin factorul XIII. Pacienților li s-a administrat NovoThirteen timp de un an în scop preventiv. Studiul a urmărit numărul de episoade hemoragice care au necesitat tratament cu un medicament care conține factorul XIII la acești pacienți, comparativ cu pacienții cărora nu li s-a administrat NovoThirteen, pe baza datelor anterioare de la 16 pacienți cu deficit congenital de subunitate A a factorului XIII. Studiul a fost extins pentru încă un an la 33 dintre pacienți pentru a urmări siguranța pe termen lung a tratamentului cu NovoThirteen.

Siguranța și eficacitatea NovoThirteen la copiii cu vârsta mai mică de șase ani au fost susținute de datele preliminare dintr-un studiu de lungă durată aflat încă în desfășurare, pe perioada căruia pacienților li s-a administrat NovoThirteen pentru prevenirea episoadelor hemoragice.

Ce beneficii a prezentat NovoThirteen pe parcursul studiilor?

Rata episoadelor hemoragice la pacienții cărora li s-a administrat NovoThirteen în scop preventiv a fost mai scăzută decât rata observată în datele anterioare de la pacienții tratați la cerere cu un alt medicament care conține factorul XIII. În medie, au existat aproximativ 0,15 episoade hemoragice, pe an și pacient tratat preventiv cu NovoThirteen, care au necesitat tratament cu factorul XIII, în comparație cu aproximativ 2,9 episoade pe an și pacient tratat la cerere cu un alt medicament care conține factorul XIII.

Pe perioada studiului de lungă durată, nu s-a observat nici un episod hemoragic la copiii cu vârsta mai mică de șase ani care au fost tratați cu NovoThirteen.

Care sunt riscurile asociate cu NovoThirteen?

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu NovoThirteen (observate la 1 până la 10 pacienți din 100) sunt dureri de cap, leucopenie (număr scăzut de globule albe), neutropenie exacerbată (număr scăzut de neutrofile, un tip de globule albe din sânge), dureri la nivelul extremităților, dureri la locul injectării și prezența în sânge a anticorpilor care se fixează de factorul XIII și a unor mici fragmente de proteină denumite „dimeri D ai fibrinei”.

Pentru lista completă a efectelor secundare și a restricțiilor, consultați prospectul.

De ce a fost aprobat NovoThirteen?

CHMP a concluzionat că studiul principal a furnizat rezultate satisfăcătoare cu privire la eficacitate, deoarece în cursul tratamentului cu NovoThirteen nu a avut loc nicio sângerare gravă sau care să pună în pericol viața. De asemenea, nu au fost observate efecte secundare grave la utilizarea pe termen lung a NovoThirteen. CHMP a hotărât că beneficiile NovoThirteen sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a NovoThirteen?

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca NovoThirteen să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru NovoThirteen au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

În plus, compania care comercializează NovoThirteen va furniza tuturor medicilor care se preconizează că vor prescrie acest medicament un pachet informativ pentru medici și pacienți care conține informații importante despre utilizarea corectă a medicamentului. Acest pachet va include informații despre modul de păstrare, deoarece păstrarea incorectă după reconstituire poate duce la apariția unor niveluri crescute de NovoThirteen activat, crescând astfel riscul de tromboză (formarea cheagurilor de sânge în vasele sanguine), și informații despre modul de administrare, deoarece concentrația de factor XIII din NovoThirteen este diferită de cea din alte medicamente care conțin factorul XIII.

Informații suplimentare sunt disponibile în rezumatul planului de management al riscurilor.

Alte informații despre NovoThirteen

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru NovoThirteen, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 3 septembrie 2012.

EPAR-ul complet pentru NovoThirteen este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu NovoThirteen, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 02-2014.