



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/653904/2017  
EMA/H/C/000520

## EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

---

### Advate

oktokog alfa

Ez a dokumentum az Advate-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak az Advate alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben az Advate alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

### Milyen típusú készítmény az Advate és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Advate a hemofília A-ban (a VIII-as faktor hiánya által okozott, örökletes vérzészavar) szenvedő betegeknél bármely életkorban a vérzés kezelésére és megelőzésére alkalmazott gyógyszer. A készítmény hatóanyaga az oktokog alfa (humán VIII-as véralvadási faktor).

### Hogyan kell alkalmazni az Advate-t?

Az Advate csak receptre kapható, és a kezelést a hemofília kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie, és a súlyos allergiás reakciók (anafilaxia) esetére rendelkezésre kell állniuk az újraélesztéshez szükséges eszközöknek.

Az Advate por és oldószer formájában kapható, amelyeket összekeverve vénába adandó oldatos injekciót kapunk. A kezelés dózisa és a időtartama attól függ, hogy az Advate-t a vérzés kezelésére vagy megelőzésére, illetve műtét során alkalmazzák-e, valamint függ a beteg VIII-as faktor szintjétől, a hemofília súlyosságától, a vérzés kiterjedésétől és elhelyezkedésétől, valamint a beteg állapotától és testtömegétől. Az Advate rövid, illetve hosszú távú alkalmazásra is alkalmas.



A betegek vagy gondozóik otthon, maguk is beadhatják az Advate-t, amint megfelelő oktatásban részesültek. A részletes információk a betegtájékoztatóban találhatóak.

## Hogyan fejt ki hatását az Advate?

Az Advate hatóanyaga, az oktokog alfa (humán VIII-as véralvadási faktor) a véralvadást elősegítő anyag. A hemofília A-ban szenvedő betegeknél hiányzik a VIII-as faktor, ami véralvadási problémákat okoz, például vérzést az ízületekben, izmokban vagy belső szervekben. Az Advate a hiányzó VIII-as faktor pótlásával helyreállítja a VIII-as faktor hiányt, így átmenetileg ellensúlyozza a véralvadási zavart.

Az oktokog alfát a „rekombináns DNS-technológia” elnevezésű módszerrel állítják elő: sejtek termelik, amelyekbe olyan gént (DNS-t) juttattak, amely képessé teszi azokat a hatóanyag előállítására.

## Milyen előnyei voltak az Advate alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Advate hasonló az Európai Unióban (EU) jóváhagyott, Recombinate nevű gyógyszerhez, azonban más úton állítják elő, ezáltal a készítmény nem tartalmaz emberi vagy állati eredetű fehérjét. Emiatt a fő vizsgálatban 111 hemofília A-ban szenvedő betegnél az Advate-t a Recombinate-vel hasonlították össze annak igazolására, hogy a két gyógyszer egyenértékű.

A vizsgálat a vérzéses epizódok számát vizsgálta és az Advate hatásosságát osztályozta a vérzés elállításában egy „nincs hatás”-tól „kiváló”-ig terjedő skálán 107 betegnél, akik mind Advate-t kaptak. Az Advate hatékonyságát „kiváló”-ként vagy „jó”-ként jelölték meg az 510 új vérzéses epizód 86%-ánál. Továbbá ezen vérzési események 81%-ánál csak egyetlen Advate-kezelésre volt szükség.

Három további vizsgálat a gyógyszernek a vérzés megelőzésében és a sebészetben történő felhasználását vizsgálta közepesen súlyos vagy súlyos hemofília A-ban szenvedő betegeknél, köztük az egyik vizsgálat 53 hatévesnél fiatalabb gyermekeket vizsgált. A kiegészítő vizsgálatok megerősítették az Advate hatásosságát, köztük a hatévesnél fiatalabb gyermekeknél.

Néhány betegben VIII-as faktor inhibitorok jelenhetnek meg. Ezek antitestek (fehérjék), amelyeket a szervezet immunrendszere termel a VIII-as faktor ellen, és megakadályozhatják a gyógyszer hatását, ezáltal a vérzés kontroll elvesztését eredményezve. Vizsgálatot végeztek annak kimutatására, hogy a magas dózisban alkalmazott Advate hatékony-e a VIII-as faktor elleni antitestek vérből történő eltávolításában (immuntolerancia indukciónak nevezett eljárás), hogy így a VIII-as faktorról végzett kezelés hatékony maradjon. Az inhibitorokkal rendelkező betegeknél végzett immuntolerancia indukcióra vonatkozóan benyújtott adatokat nem tartották elégségesnek a gyógyszer jóváhagyásához ebben az alkalmazásban.

## Milyen kockázatokkal jár az Advate alkalmazása?

Az Advate gyakori mellékhatásai (100 beteg közül 1-10-nél jelentkeznek) a fejfájás és a láz.

Túlérzékenységi (allergiás) reakciókról számoltak be, és egyes esetekben ezek súlyosak lehetnek.

A VIII-as faktor készítményekkel kapcsolatban fennáll annak a kockázata, hogy egyes betegek inhibitorokat (antitesteket) kezdenek el termelni a VIII-as faktor ellen, ami a gyógyszer hatástalanságát és a vérzés kontrolljának elvesztését eredményezi. Ilyen esetekben speciális hemofília centrummal kell felvenni a kapcsolatot.

Az Advate alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található. Az Advate nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiások) a humán VIII-as véralvadási faktorra, az egér- vagy hörcsögfehérjékre, illetve a készítmény egyéb összetevőivel szemben.

### **Miért engedélyezték az Advate forgalomba hozatalát?**

Az Ügynökség megállapította, hogy az Advate alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását. Az Ügynökség arra a következtetésre jutott, hogy az Advate hatékonyan bizonyult a vérzés kezelésében és megelőzésében a hemofília A-ban szenvedő betegeknél és biztonságossági profilja elfogadható.

### **Milyen intézkedések vannak folyamatban az Advate biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

Az Advate biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

### **Az Advate-vel kapcsolatos további információ**

2004. március 2-án az Európai Bizottság az Advate-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

Az Advate-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Amennyiben az Advate-vel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 10-2017.