



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/753310/2016  
EMA/H/C/004075

## Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

---

### Afstyla

Lonoctocog alfa

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Afstyla. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Afstyla zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Afstyla benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

### Was ist Afstyla und wofür wird es angewendet?

Afstyla ist ein Arzneimittel zur Behandlung und Vorbeugung von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (eine durch den Mangel an einem Gerinnungsprotein, dem sogenannten Faktor VIII, bedingte, angeborene Blutgerinnungsstörung). Es enthält den Wirkstoff Lonoctocog alfa.

### Wie wird Afstyla angewendet?

Afstyla ist als Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung erhältlich. Die Injektion wird intravenös über mehrere Minuten verabreicht. Dosis und Häufigkeit der Injektionen sind davon abhängig, ob Afstyla zur Behandlung oder zur Vorbeugung einer Blutung angewendet wird, und richten sich nach dem Schweregrad des Mangels an Faktor VIII des Patienten, dem Ausmaß und Ort der Blutung sowie dem klinischen Zustand des Patienten und seinem Körpergewicht.

Afstyla ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte unter Aufsicht eines in der Hämophilie-Behandlung erfahrenen Arztes erfolgen. Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.



## Wie wirkt Afstyla?

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 Afstyla, Lonoctocog alfa, ist eine kürzere Version des humanen Faktors VIII, die im Körper auf dieselbe Weise wirkt wie der humane Faktor VIII. Sie ersetzt den fehlenden Faktor VIII und unterstützt damit die Blutgerinnung und ermöglicht eine vorübergehende Kontrolle von Blutungen.

## Welchen Nutzen hat Afstyla in den Studien gezeigt?

Die Wirksamkeit von Afstyla zur Vorbeugung und Behandlung von Blutungsepisoden wurde in zwei Hauptstudien an Patienten mit schwerer Hämophilie A, die zuvor mit anderen Faktor-VIII-Arzneimitteln behandelt worden waren, nachgewiesen.

An der ersten Studie waren 173 Patienten ab 12 Jahren beteiligt. Insgesamt wurden während der Studie 848 Blutungsepisoden erfasst, von denen 94 % mit einer oder zwei Afstyla-Injektionen beendet wurden. Afstyla erhielt für die Behandlung von 92 % der Blutungsepisoden die Bewertung „hervorragend“ oder „gut“. Bei den 16 während der Studie vorgenommenen operativen Eingriffen wurde Afstyla hinsichtlich der Vorbeugung von Blutungsepisoden als „hervorragend“ oder „gut“ bewertet, wenn es zwei- bis dreimal wöchentlich angewendet wurde. Bei jenen Patienten, die Afstyla zur Vorbeugung von Blutungen erhielten, wurden für jeden Patienten pro Jahr im Durchschnitt 1,14 Blutungsepisoden gemeldet; dieser Wert war geringer als die 19,64 Episoden pro Jahr bei Patienten, die kein Afstyla zur Vorbeugung erhielten.

An der zweiten Studie waren 83 Patienten unter 12 Jahren beteiligt. Afstyla erhielt für die Behandlung von 96 % der 347 während der Studie erfassten Blutungsepisoden die Bewertung „hervorragend“ oder „gut“; 96 % der Blutungsepisoden wurden mit einer oder zwei Afstyla-Injektionen beendet. Bei jenen Patienten, die Afstyla zur Vorbeugung von Blutungen erhielten, wurden für Patienten, die Afstyla dreimal wöchentlich erhielten, durchschnittlich 2,30 Blutungsepisoden pro Jahr und für Patienten, die Afstyla zweimal wöchentlich erhielten, durchschnittlich 4,37 Blutungsepisoden pro Jahr gemeldet.

## Welche Risiken sind mit Afstyla verbunden?

Überempfindlichkeitsreaktionen (allergische Reaktionen) treten in Zusammenhang mit Afstyla häufig auf und betreffen bis zu 1 von 10 Personen. Diese können Folgendes umfassen: Angioödem (Schwellung von Gewebe unter der Haut), Brennen und Stechen an der Injektionsstelle, Schüttelfrost, Hitzegefühl, juckender Ausschlag am gesamten Körper, Kopfschmerzen, Quaddeln, Hypotonie (niedriger Blutdruck), Lethargie, Nausea (Übelkeit), Unruhe, Tachykardie (schneller Herzschlag), Engegefühl in der Brust, Kribbeln, Erbrechen und Giemen (Atemgeräusche). In einigen Fällen können diese Reaktionen schwerwiegend werden.

Es besteht zudem das Risiko im Zusammenhang mit Faktor-VIII-Arzneimitteln, dass einige Patienten Antikörper (Inhibitoren) gegen den Faktor VIII entwickeln. Dies führt dazu, dass das Arzneimittel nicht mehr wirkt und es zu einem Verlust der Blutungskontrolle kommt.

Afstyla darf nicht bei Patienten mit bekannter Allergie gegen Hamsterproteine angewendet werden.

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## **Warum wurde Afstyla zugelassen?**

Für Afstyla wurde nachgewiesen, dass es Blutungsepisoden wirksam vorbeugt und diese wirksam behandelt. Hinsichtlich der Sicherheit stehen die berichteten Nebenwirkungen im Einklang mit jenen, die für ein Faktor-VIII-Arzneimittel zu erwarten sind, wenngleich Überempfindlichkeitsreaktionen bei Afstyla häufiger auftraten. Durch derzeit laufende Studien sollten weitere Daten zur Sicherheit generiert werden.

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Afstyla gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen.

## **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Afstyla ergriffen?**

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

## **Weitere Informationen über Afstyla**

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Afstyla finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Afstyla benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.