



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

---

### Afstyla

alfa-lonoktokog

Ez a dokumentum az Afstyla-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 Afstyla alkalmazására vonatkozóan.

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

### Milyen típusú gyógyszer az Afstyla és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Afstyla egy olyan gyógyszer, amelyet hemofília A-ban (a VIII-as faktornak nevezett véralvadási fehérje hiánya miatt kialakuló, öröklött vérszavar) szenvedő betegekben alkalmaznak a vérzés kezelésére és megelőzésére. A készítmény hatóanyaga az alfa-lonoktokog.

### Hogyan kell alkalmazni az Afstyla-t?

Az Afstyla por és oldószer formájában kapható, amelyekből oldatos injekció készül. Az injekciót vénába adják be több perc alatt. Az injekciók dózisa és gyakorisága attól függ, hogy az Afstyla-t a vérzés kezelésére vagy megelőzésére alkalmazzák-e, illetve függ a VIII-as faktor hiány súlyosságától, a vérzés kiterjedésétől és elhelyezkedésétől, valamint a beteg állapotától és testtömegétől.

Az Afstyla csak receptre kapható, és a kezelést a hemofília kezelésében jártas orvos felügyelete mellett kell végezni. További információ a betegtájékoztatóban található.



## Hogyan fejt ki hatását az Afstyla?

A hemofília A-ban szenvedő betegeknek hiányzik a normális véralvadáshoz szükséges egyik fehérje, a VIII-as faktor, ennek következtében pedig könnyen véreznek.

Az Afstyla hatóanyaga, az alfa-lonoktokog a humán VIII-as faktor rövidebb változata, amely ugyanúgy viselkedik a szervezetben, mint a humán VIII-as faktor. Pótolja a hiányzó VIII-as faktort, ezáltal elősegíti a véralvadást, és biztosítja a vérzés időleges kontrollját.

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

Az Afstyla hatásosnak bizonyult a vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében két fő vizsgálat során, amelyekben olyan, súlyos hemofília A-ban szenvedő betegek vettek részt, akiket korábban egyéb VIII-as faktor készítményekkel kezeltek.

Az első vizsgálatban 173, legalább 12 éves beteg vett részt. A vizsgálat során összesen 848 vérzéses epizódot jegyeztek fel, amelyeknek 94%-a egy vagy két Afstyla injekcióra megszűnt. Az Afstyla „kiváló” vagy „jó” értékelést kapott a vérzéses epizódok 92%-ánál. A vizsgálat alatt elvégzett 16 műtéti beavatkozás közben az Afstyla „kiváló” vagy „jó” értékelést kapott a vérzéses epizódok megelőzésében hetente két vagy három alkalommal alkalmazva. A vérzés megelőzése érdekében Afstyla kezelésben részesülő betegeknek évente átlagosan 1,14 vérzéses epizódról számoltak be, amely alacsonyabb volt, mint az évente 19,64 epizód a megelőzés céljából Afstyla-t nem kapó betegeknek.

A második vizsgálatban 83, 12 évesnél fiatalabb beteg vett részt. Az Afstyla „kiváló” vagy „jó” értékelést kapott a vizsgálat során jelentett 347 vérzéses epizód 96%-ánál; a vérzéses epizódok 96%-a egy vagy két Afstyla injekció beadására megszűnt. A vérzés megelőzése érdekében Afstyla kezelésben részesülő betegeknek a vérzéses epizódok átlagos száma 2,30 volt az Afstyla-t hetente háromszor kapó betegeknek, 4,37 pedig az Afstyla-t heti kétszer kapó betegeknek.

## Milyen kockázatokkal jár a Afstyla alkalmazása?

Az Afstyla alkalmazásával kapcsolatosan gyakoriak a túlérzékenységi (allergiás) reakciók, amelyek 10 beteg közül legfeljebb egynek jelentkeznek. A következőket foglalhatják magukba: angioödéma (az arc és a végtagok duzzanata), az injekció helyén kialakuló égő vagy szúró érzés, hidegrázás, kipirulás, viszkető bőrkürettés az egész testen, fejfájás, csalánkiürettés, hipotenzió (alacsony vérnyomás), letargia, émelygés, nyugtalanság, tachikardia (gyors szívverés), szorító érzés a mellkasban, fülcsengés, hányás és a sípoló légzés. Egyes esetekben ezek a reakciók súlyossá válhatnak.

A VIII-as faktor készítményekkel kapcsolatosan fennáll annak a veszélye is, hogy a beteg inhibitorokat (antitesteket) kezd el termelni a VIII-as faktor ellen, ami megakadályozza a gyógyszer hatását és a vérzés kontrolljának elvesztését eredményezi.

Hörcsögfehérjékkel szemben ismertén allergiás betegeknek az Afstyla nem alkalmazható.

Az összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## Miért engedélyezték a Afstyla forgalomba hozatalát?

Az Afstyla hatásosnak bizonyult a vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében egyaránt. A biztonságosságot illetően a jelentett mellékhatások megfelelnek egy VIII-as faktor készítmény esetén vártaknak, bár az Afstyla kapcsán gyakrabban jelentkeztek túlérzékenységi reakciók. További biztonságossági adatok benyújtása szükséges a folyamatban lévő vizsgálatokból.

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy az Afstyla alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

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

Az Afstyla 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 Afstyla-val kapcsolatos egyéb információ**

Az Afstyla-ra vonatkozó teljes EPAR és kockázatkezelési terv összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben az Afstyla-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.