



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/171272/2016
EMA/H/C/004142

EPAR – Sammendrag for offentligheden

Alprolix

eftrenonacog alfa

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Alprolix. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Alprolix bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Alprolix, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Alprolix, og hvad anvendes det til?

Alprolix er et lægemiddel til behandling og forebyggelse af blødning ved den arvelige blødningsforstyrrelse hæmofili B, der skyldes mangel på blodstørkningsproteinet faktor IX. Alprolix kan anvendes til patienter i alle aldre.

Da antallet af patienter med hæmofili B er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Alprolix blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 8. juni 2007.

Det indeholder det aktive stof eftrenonacog alfa.

Hvordan anvendes Alprolix?

Alprolix udleveres kun efter recept, og behandlingen bør finde sted under opsyn af en læge med erfaring i behandling af hæmofili.

Alprolix leveres som et pulver med opløsningsvæske (solvens), der blandes sammen til en opløsning, som gives ved injektion i en vene. Dosis og hyppighed af indsprøjtningerne afhænger af patientens legemsvægt og af, om Alprolix skal anvendes til at behandle eller forebygge blødning, og desuden af, hvor alvorlig patientens mangel på faktor IX er, blødningens omfang og beliggenhed samt patientens



alder og helbred. Yderligere oplysninger om anvendelsen af Alprolix fremgår af produktresuméet (også en del af denne EPAR).

Patienten eller dennes omsorgsgiver har mulighed for selv at give Alprolix i hjemmet efter at have fået passende instruktion. De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Alprolix?

Patienter med hæmofili B mangler faktor IX, der er et protein, som behøves til blodets normale størkning. Patienterne får derfor tilbøjelighed til blødninger. Det aktive stof i Alprolix, eftrenonacog alfa, virker på samme måde i kroppen som kroppens egen faktor IX. Det erstatter den manglende faktor IX og medvirker derfor til blodets størkning, så der opnås midlertidig kontrol med blødningen.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Alprolix?

I 2 hovedundersøgelser af patienter med hæmofili B er det påvist, at Alprolix er effektivt til både at behandle og forebygge blødningsepisoder.

I det første studie, der omfattede 123 voksne og unge i alderen 12 år og derover, sås følgende: Patienter, der fik Alprolix som forebyggende behandling én gang ugentligt, havde ca. 3 blødningsepisoder pr. år, patienter, der fik Alprolix som forebyggende behandling hver 10. dag, havde ca. 2 blødningsepisoder pr. år, og patienter, der fik Alprolix til behandling af blødning efter behov, havde ca. 18 blødningsepisoder pr. år. Når blødninger forekom, blev de desuden i 90 % af tilfældene standset med én injektion af Alprolix.

I det andet studie hos 30 børn under 12 år, havde Alprolix en lignende virkning: Der sås i gennemsnit 2 blødningsepisoder pr. år, og 75 % af blødningsepisoderne blev standset med én indsprøjtning.

Hvilke risici er der forbundet med Alprolix?

Allergiske reaktioner ses sjældent med Alprolix, og de omfatter: hævelse, brændende og stikkende fornemmelse på injektionsstedet, kulderystelser, hedeure, kløende udslæt, hovedpine, nældefeber, lavt blodtryk, sløvhed, kvalme og opkastning, rastløshed, hurtig hjerterytme, trykken for brystet og hvæsende vejrtrækning. I nogle tilfælde kan disse reaktioner blive alvorlige.

Nogle patienter, der tager faktor IX-medicin, kan danne antistoffer (inhibitorer) mod faktor IX, hvilket medfører, at lægemidlet ikke længere virker, så kontrollen med blødning svigter. Faktor IX-medicin kan også medføre problemer på grund af dannelsen af blodpropper i blodårerne.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Alprolix fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Alprolix godkendt?

Studier har vist, at Alprolix er effektivt til at forebygge og behandle blødningsepisoder hos patienter med hæmofili B, og sikkerheden ved lægemidlet er sammenlignelig med sikkerheden ved andre faktor IX-lægemidler. Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede derfor, at fordelene ved Alprolix opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Alprolix?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Alprolix anvendes så sikkert som muligt. På baggrund af denne er der anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for Alprolix, herunder passende forholdsregler, som patienter og sundhedspersonale skal følge.

Andre oplysninger om Alprolix

Den fuldstændige EPAR for Alprolix findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Alprolix, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Alprolix findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.