



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Alprolix

eftrenonakog-alfa

Ez a dokumentum az Alprolix-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 Alprolix alkalmazására vonatkozóan.

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

Milyen típusú gyógyszer az Alprolix és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Alprolix egy, a IX-es faktornak nevezett véralvadási fehérje hiánya miatt kialakuló, örökletes vérszavarban, hemofília B-ben szenvedő betegeknél fellépő vérzés kezelésére és megelőzésére alkalmazott gyógyszer. Bármilyen korú betegeknél alkalmazható.

Mivel a hemofília B-ben szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért az Alprolix-ot 2007. június 8-án „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

Az Alprolix hatóanyaga az eftrenonakog-alfa.

Hogyan kell alkalmazni az Alprolix-ot?

Az Alprolix csak receptre kapható, és a kezelést a hemofília kezelésében jártas orvos felügyelete mellett kell végezni.

Az Alprolix por és oldószer formájában kapható, amelyeket összekeverve vénás oldatos injekciót kapunk. A kezelés dózisa és gyakorisága a beteg testtömegétől, valamint attól függ, hogy az Alprolix-ot a vérzés kezelésére vagy megelőzésére alkalmazzák-e, illetve függ a IX-es faktor hiány

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



súlyosságától, a vérzés mértékétől és elhelyezkedésétől, valamint a beteg életkorától és egészségi állapotától. A gyógyszer alkalmazásával kapcsolatos további információk a (szintén az EPAR részét képező) alkalmazási előírásban található.

A betegek vagy gondozók otthon, maguk is beadhatják az Alprolix-ot, amint megfelelő oktatásban részesültek. A részletes információk a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejt ki hatását az Alprolix?

A hemofília B-ben szenvedő betegeknél hiányzik a normális véralvadáshoz szükséges egyik fehérje, a IX-es faktor, ennek következtében pedig könnyen véreznek. Az Alprolix hatóanyaga, az eftrenonakog-alfa ugyanúgy fejt ki hatását a szervezetben, mint a humán IX-es faktor. Pótolja a hiányzó IX-es faktort, ezáltal elősegíti a véralvadást, és biztosítja a vérzés ideiglenes kontrollját.

Milyen előnyei voltak az Alprolix alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Alprolix két, hemofília B-ben szenvedő beteggel végzett fő vizsgálatban hatékonyak bizonyult a vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében egyaránt.

Ez első vizsgálatban, amelyben 123 felnőtt és legalább 12 éves serdülő vett részt, a megelőző kezelésként hetente Alprolix-ot kapó betegeknél évente körülbelül 3 vérzéses epizód jelentkezett, a megelőző kezelésként 10 naponta Alprolix-ot kapó betegeknél évente körülbelül 2 vérzéses epizód alakult ki, a szükség szerint vérzés kezelésére Alprolix-ot kapó betegeknél pedig évente körülbelül 18 vérzéses epizód fordult elő. Ezenfelül, ha vérzés jelentkezett, a vérzéses epizódok körülbelül 90%-a egy Alprolix injekció beadására megszűnt.

A második vizsgálatban 30, 12 év alatti gyermek részvételével az Alprolix hasonlóan hatásos volt: évente átlagosan 2 vérzéses epizód jelentkezett, és a vérzéses epizódok 75%-a egyetlen injekció hatására megszűnt.

Milyen kockázatokkal jár az Alprolix alkalmazása?

Az Alprolix alkalmazása kapcsán ritkán túlérzékenységi (allergiás) reakciók alakulnak ki, amelyek a következőket foglalják magukba: duzzanat, égő és szúró érzés az injekció beadási helyén, hidegrázás, kipirulás, viszkető bőrkütiés, fejfájás, csalánkiütés, alacsony vérnyomás, letargia, émelygés és hányás, nyugtalanság, gyors szívverés, mellkasi szorítás és sípolás. Egyes esetekben ezek a reakciók súlyossá válhatnak.

Egyes, IX-es faktor készítményeket szedő betegeknél inhibitorok (antitestek) alakulhatnak ki a IX-es faktor ellen, ami a gyógyszer hatástalanságát és a vérzés kontrolljának elvesztését eredményezi. A IX-es faktor gyógyszerek továbbá a vérerekben vérrögök kialakulása miatt is okozhatnak problémákat.

Az Alprolix alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az Alprolix forgalomba hozatalát?

A vizsgálatok azt mutatják, hogy az Alprolix hatékony a vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében a hemofília B-ben szenvedő betegeknél, és biztonságossága összehasonlítható az egyéb IX-es faktor készítményekével. Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy az Alprolix alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Alprolix biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Alprolix lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján az Alprolix-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

Az Alprolix-szal kapcsolatos egyéb információ

Az Alprolix-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%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben az Alprolix-szal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Alprolix-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).