



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Alprolix

eftrenonacog alfa

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Alprolix. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Alprolix.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Alprolix.

Wat is Alprolix en wanneer wordt het voorgeschreven?

Alprolix is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling en preventie van bloedingen bij patiënten met hemofilie B, een erfelijke bloedingsstoornis die wordt veroorzaakt door een tekort aan een stollingseiwit met de naam factor IX. Het kan worden gebruikt bij patiënten van alle leeftijden.

Aangezien het aantal patiënten met hemofilie B klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Alprolix op 8 juni 2007 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Alprolix bevat de werkzame stof eftrenonacog alfa.

Hoe wordt Alprolix gebruikt?

Alprolix is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van hemofilie.

Alprolix is verkrijgbaar in de vorm van een poeder en oplosmiddel die worden gemengd tot een oplossing voor injectie in een ader. De dosis en de frequentie van de behandeling hangen af van het lichaamsgewicht van de patiënt en van de vraag of Alprolix wordt gebruikt voor de behandeling of preventie van bloedingen, evenals van de ernst van het factor IX-tekort van de patiënt, van de mate

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



en plaats van de bloeding en van de leeftijd en gezondheid van de patiënt. Raadpleeg voor meer informatie over het gebruik van dit geneesmiddel de samenvatting van de productkenmerken (ook onderdeel van dit EPAR).

Patiënten of hun verzorgers kunnen Alprolix zelf thuis injecteren zodra ze hierin voldoende zijn geoefend. Zie de bijsluiter voor een volledige beschrijving.

Hoe werkt Alprolix?

Patiënten met hemofilie B hebben geen factor IX, een eiwit dat nodig is voor normale bloedstolling en dientengevolge bloeden ze snel. De werkzame stof in Alprolix, eftrenonacog alfa, werkt in het lichaam op dezelfde manier als humane factor IX. Het vervangt de ontbrekende factor IX zodat de stolling van het bloed wordt bevorderd en de bloedingen tijdelijk onder controle worden gebracht.

Welke voordelen bleek Alprolix tijdens de studies te hebben?

In twee grote studies met patiënten met hemofilie B is aangetoond dat Alprolix bloedingsepisoden op doeltreffende wijze zowel kan voorkomen als behandelen.

In de eerste studie met 123 volwassenen en jongeren van twaalf jaar en ouder hadden patiënten die Alprolix als een wekelijkse preventieve behandeling kregen ongeveer drie bloedingsepisoden per jaar. Patiënten die Alprolix om de tien dagen als preventieve behandeling kregen, hadden ongeveer twee bloedingsepisoden per jaar en patiënten die Alprolix kregen wanneer dat nodig was ('on demand') voor de behandeling van bloedingen, hadden circa 18 bloedingsepisoden per jaar. Wanneer zich een bloeding voordeed, stopte bovendien ongeveer 90% van de bloedingsepisoden met één injectie van Alprolix.

In de tweede studie met 30 kinderen jonger dan twaalf jaar was Alprolix even doeltreffend: gemiddeld deden zich twee bloedingsepisoden per jaar voor en circa 75% van de bloedingsepisoden verdween met slechts één injectie.

Welke risico's houdt het gebruik van Alprolix in?

Met Alprolix worden zelden overgevoeligheidsreacties (allergische reacties) waargenomen; deze omvatten zwelling, een branderig en stekend gevoel op de injectieplaats, koude rillingen, overmatig blozen, jeukende huiduitslag, hoofdpijn, netelroos, lage bloeddruk, sloomheid, misselijkheid en braken, rusteloosheid, een snelle hartslag, beklemd gevoel op de borst en piepende ademhaling. In sommige gevallen kunnen deze reacties ernstig worden.

Sommige patiënten ontwikkelen met factor IX-geneesmiddelen remmers (antilichamen) tegen factor IX, waardoor het geneesmiddel niet meer werkt en er sprake is van verlies van controle over bloedingen. Factor IX-geneesmiddelen kunnen mogelijk ook problemen veroorzaken door de vorming van bloedstolsels in de bloedvaten.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Alprolix.

Waarom is Alprolix goedgekeurd?

Studies tonen aan dat Alprolix doeltreffend bloedingsepisoden bij patiënten met hemofilie B voorkomt en behandelt en dat de veiligheid ervan vergelijkbaar is met die van andere factor IX-middelen. Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft

geconcludeerd dat de voordelen van Alprolix groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd dit middel voor gebruik in de EU goed te keuren.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Alprolix te waarborgen?

Om een zo veilig mogelijk gebruik van Alprolix te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter van Alprolix veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Overige informatie over Alprolix

Het volledige EPAR voor Alprolix is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Alprolix.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Alprolix is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).