



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

### Alprolix

eftrenonakog alfa

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dla leku Alprolix. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Alprolix.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Alprolix należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

### Co to jest produkt Alprolix i w jakim celu się go stosuje?

Alprolix jest lekiem stosowanym w leczeniu krwawień i zapobieganiu krwawieniom u pacjentów z hemofilią B, dziedzicznym zaburzeniem krzepnięcia krwi wynikającym z braku białka krzepnięcia zwanego czynnikiem IX. Można go stosować u pacjentów w każdym wieku.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z hemofilią B choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 8 czerwca 2007 r. Alprolix uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Alprolix zawiera substancję czynną eftrenonakog alfa.

### Jak stosować produkt Alprolix?

Lek Alprolix wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinno zostać rozpoczęte pod nadzorem lekarza mającego doświadczenie w leczeniu hemofilii.

Alprolix jest dostępny w postaci proszku i rozpuszczalnika, które miesza się w celu sporządzenia roztworu do wstrzykiwań dożylnych. Dawka i częstość wstrzyknięć zależą od masy ciała pacjenta oraz od tego, czy Alprolix jest stosowany do leczenia krwawień lub do zapobiegania im, a także od ciężkości niedoboru czynnika IX u pacjenta, rozległości i lokalizacji krwawienia oraz wieku i stanu zdrowia

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



pacjenta. Więcej informacji dotyczących sposobu stosowania leku znajduje się w charakterystyce produktu leczniczego (także część EPAR).

Po przejściu odpowiedniego szkolenia pacjenci lub ich opiekunowie mogą być w stanie sami wstrzykiwać lek Alprolix w domu. Szczegółowe informacje znajdują się w ulotce dla pacjenta.

## **Jak działa produkt Alprolix?**

Pacjenci z hemofilią B są pozbawieni czynnika IX, białka potrzebnego do prawidłowego krzepnięcia krwi, wskutek czego łatwo dochodzi u nich do krwawień. Substancja czynna leku Alprolix, eftrenonakog alfa, działa w organizmie w taki sam sposób jak ludzki czynnik IX. Zastępuje ona brakujący czynnik IX, wspomagając w ten sposób proces krzepnięcia krwi i zapewniając tymczasową kontrolę krwawienia.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Alprolix zaobserwowano w badaniach?**

Wykazano, że Alprolix jest skuteczny zarówno w zapobieganiu epizodom krwawienia, jak i w leczeniu ich, w 2 głównych badaniach z udziałem pacjentów z hemofilią B.

W pierwszym badaniu z udziałem 123 dorosłych i młodzieży w wieku 12 lub więcej lat u pacjentów otrzymujących Alprolix profilaktycznie raz na tydzień występowały około 3 epizody krwawienia na rok, u pacjentów otrzymujących Alprolix profilaktycznie raz na 10 dni występowały około 2 epizody krwawienia na rok, a u pacjentów otrzymujących Alprolix doraźnie w leczeniu krwawień występowało około 18 epizodów krwawienia na rok. Ponadto gdy już doszło do krwawienia, około 90% takich epizodów ustępowało po jednym wstrzyknięciu leku.

W drugim badaniu u 30 dzieci w wieku poniżej 12 lat Alprolix miał podobną skuteczność: dochodziło do średnio 2 epizodów krwawienia w ciągu roku, a 75% takich epizodów ustępowało po jednym wstrzyknięciu.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Alprolix?**

Rzadko podczas stosowania leku Alprolix obserwuje się reakcje nadwrażliwości (alergiczne), które obejmują: obrzęk, pieczenie i kłucie w miejscu wstrzyknięcia, dreszcze, nagłe zaczerwienienie twarzy, swędzącą wysypkę, bóle głowy, pokrzywkę, niskie ciśnienie tętnicze, ospałość, nudności i wymioty, niepokój ruchowy, szybkie bicie serca, uczucie ucisku w klatce piersiowej i świszczący oddech. W niektórych przypadkach reakcje te mogą być ciężkie.

U niektórych pacjentów przyjmujących leki zawierające czynnik IX mogą się pojawić inhibitory (przeciwciała) przeciwko czynnikowi IX, sprawiające, że lek przestanie działać i nastąpi utrata kontroli krwawień. Leki zawierające czynnik IX mogą również potencjalnie powodować problemy będące wynikiem powstawania skrzepów krwi w naczyniach krwionośnych.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem produktu Alprolix znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Alprolix?**

Badania wykazują, że Alprolix skutecznie zapobiega epizodom krwawienia i leczy je u pacjentów z hemofilią B, a bezpieczeństwo jego stosowania jest porównywalne z innymi produktami zawierającymi czynnik IX. Dlatego Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści ze stosowania produktu Alprolix przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE.

## **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Alprolix?**

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu Alprolix opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących produktu Alprolix zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące produktu Alprolix:**

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Alprolix znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji o leczeniu produktem Alprolix należy zapoznać się z treścią ulotki dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Alprolix znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).