



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/403685/2016
EMEA/H/C/000587

EPAR – sammendrag for offentligheden

ATryn

antithrombin alfa

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for ATryn. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om, hvordan ATryn skal anvendes.

Hvad er ATryn?

ATryn er et pulver, der blandes til en opløsning til infusion (drop i en vene). Det indeholder det aktive stof antithrombin alfa.

Hvad anvendes ATryn til?

ATryn anvendes til voksne med "medfødt antithrombinmangel" (nedarvede lave niveauer af proteinet antithrombin). Det anvendes ved operation for at forebygge problemer som følge af dannelse af blodpropper. ATryn gives normalt med heparin (et andet lægemiddel, som medvirker til at forebygge blodpropper).

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Hvordan anvendes ATryn?

Behandling med ATryn bør kun indledes af læger med erfaring i behandling af patienter med medfødt antithrombinmangel. Lægen beregner, hvilken dosis der skal anvendes, på grundlag af såvel patientens vægt som patientens antithrombinaktivitetsniveau.

Den første infusion varer 15 minutter. Dette efterfølges af en kontinuerlig infusion i en lavere dosis, i løbet af hvilken patienten skal overvåges konstant, og infusionshastigheden skal justeres, så antithrombinaktiviteten ligger på mindst 80 % af normalværdien i hele behandlingsperioden. De fuldstændige anvisninger fremgår af indlægssedlen.



Hvordan virker ATryn?

ATryn er et stof, der forhindrer blodet i at størkne. Det aktive stof i ATryn, antithrombin alfa, er en kopi af det naturlige protein antithrombin i blodet. Det fremstilles ved "rekombinant dna-teknologi": Det udvindes af mælken fra geder, der har fået indsat et gen (dna), der gør dem i stand til at danne det menneskelige protein i mælken.

I kroppen blokerer antithrombin thrombin, som er et stof, der spiller en central rolle i blodstørkningsprocessen. Patienter med medfødt antithrombinmangel har et lavt indhold af antithrombin i blodet og har derfor større risiko for at få blodpropper. ATryn retter op på manglen på antithrombin og korrigerer derved midlertidigt forstyrrelsen i blodets koagulation.

Hvordan blev ATryn undersøgt?

Der blev gennemført en undersøgelse med ATryn hos 14 patienter i alderen 21 til 74 år, som havde medfødt antithrombinmangel, og som havde risiko for dannelse af blodpropper enten under operation (fem patienter) eller under fødsel (ni patienter). I undersøgelserne målte man, hvor mange patienter, der udviklede dyb venethrombose (DVT, dannelse af en blodprop i en dybtliggende vene, sædvanligvis i benet) i løbet af de 30 dage, der fulgte efter behandlingen. Kun få patienter blev behandlet i løbet af undersøgelsen, fordi medfødt antithrombinmangel er sjælden – det anslås, at kun ca. en person ud af 3 000 til 5 000 har sygdommen.

Endvidere blev ATryn anvendt til fem patienter, som fik lægemidlet under operation i et "program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse" (et program, hvor lægen kan anmode om lægemidlet til en af sine patienter, inden det er godkendt).

Hvilken fordel viser undersøgelserne, der er ved ATryn?

To af de 13 patienter i undersøgelsen, hos hvem behandlingens virkning kunne vurderes, fik dyb venethrombose. Kun den ene af disse krævede behandling. I programmet for anvendelse med særlig udleveringstilladelse optrådte der ingen blodpropper hos de patienter, som fik ATryn. Resultaterne som helhed understøtter virkningen af ATryn til forebyggelse af, at patienter udvikler blodpropper under operation. Der forelå imidlertid ikke tilstrækkelige oplysninger til at fastlægge den mest egnede dosis til anvendelse under fødsel.

Hvilken risiko er der forbundet med ATryn?

I undersøgelserne var de hyppigste bivirkninger ved ATryn (som optræder hos mellem 1 og 10 ud af 100 patienter) svimmelhed, hovedpine, blødning (enten blødning på injektionsstedet eller blødning efter operation), kvalme og væskeudsvivning fra operationssåret.

ATryn bør ikke anvendes til personer, der kan være overfølsomme (allergiske) over for gedeproteiner eller gedemælk. Da ATryn er et protein, der gives ved injektion, kan patienterne udvikle antistoffer (proteiner, som dannes mod lægemidlet), så der er risiko for en allergisk reaktion, når injektionen gives. Dette er dog endnu ikke observeret hos patienter behandlet med ATryn. Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved ATryn fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev ATryn godkendt?

CHMP konkluderede, at de oplysninger, som virksomheden havde fremlagt, havde vist, at ATryn kan bringe antithrombinaktivitetsværdierne op på et acceptabelt niveau, når det anvendes i den anbefalede

dosis under operation. Udvalget fandt, at fordelene ved ATryn opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse.

ATryn er blevet godkendt under "særlige omstændigheder". Det betyder, at det ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om ATryn, fordi sygdommen er sjælden. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for ATryn?

Virksomheden, som fremstiller ATryn, har forelagt agenturet resultaterne af en undersøgelse, der ser nærmere på anvendelsen af ATryn under fødsel hos kvinder med medfødt antithrombinmangel, og skal indgive en ansøgning med det formål at føje behandling under fødsel til lægemidlets markedsføringstilladelse. Virksomheden skal også inden markedsføring i EU-medlemsstater indføre programmer for at sikre, at læger kan indberette oplysninger om de patienter, de behandler, og følge udviklingen af antistoffer mod ATryn.

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

I produktresuméet og indlægssedlen er der indføjet anbefalinger og forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge med henblik på sikker og effektiv anvendelse af ATryn.

Andre oplysninger om ATryn:

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for ATryn den 28. juli 2006.

Den fuldstændige EPAR for ATryn findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med ATryn, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 06-2016.