



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

ATryn

alfa-antitrombin

Ez a dokumentum az ATryn-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az ATryn alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer az ATryn?

Az ATryn egy por oldatos infúzió készítéséhez. Hatóanyagként alfa-antitrombint tartalmaz.

Milyen betegségek esetén alkalmazható az ATryn?

Az ATryn-t olyan felnőtteknél alkalmazzák, akiknél „veleszületett antitrombin-hiány” áll fenn (az antitrombin nevű fehérje mennyisége öröklötten alacsony). A gyógyszert sebészeti beavatkozás során alkalmazzák vérrögök okozta problémák megelőzésére. Az ATryn-t általában heparinnal (a vérrögek képződését gátló másik gyógyszer) együtt adják be.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni az ATryn-t?

Az ATryn-nal végzett kezelést csak a veleszületett antitrombin-hiányban szenvedő betegek keze és/ben tapasztalt orvosnak szabad elkezdni. Az alkalmazandó adagot a beteg testsúlya és a betegnél tapasztalható antitrombin-aktivitás szintje alapján kell az orvosnak kiszámítania.

Az első infúzió 15 percig tart. Ezt alacsonyabb dózisú folyamatos infúzió követi, amely során a beteget folyamatos megfigyelés alatt kell tartani, az infúzió sebességét pedig szabályozni kell annak érdekében, hogy a kezelés időtartama alatt az antitrombin-aktivitás legalább a normál szint 80%-án legyen. Az utasítások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.



Hogyan fejt ki hatását az ATryn?

Az ATryn egy véralvadásgátló szer. Az ATryn hatóanyaga, az alfa-antitrombin, a vérben található természetes antitrombin fehérje másolata, amelyet a „rekombináns DNS-technológia” néven ismert módszerrel állítanak elő: olyan kecskék tejéből vonják ki, amelyekbe olyan gént (DNS-t) juttattak, amelynek hatására képesek az emberi fehérjét kiválasztani a tejbe.

Az antitrombin a szervezetben a trombin működését gátolja, amely a véralvadásban központi szerepet játszó anyag. A veleszületett antitrombin-hiányban szenvedő betegeknél az antitrombin vérszintje alacsony, így fokozott náluk a vérrögképződés kockázata. Az ATryn az antitrombin hiányát állítja helyre, és a véralvadási zavart átmenetileg szabályozhatóvá teszi.

Milyen módszerekkel vizsgálták az ATryn-t?

Az egyik vizsgálatot 14, veleszületett antitrombin-hiányban szenvedő, 21 és 74 év közötti beteg részvételével végezték, akiknél fennállt a vérrögképződés kockázata sebészi beavatkozás (öt beteg), illetve szülés (kilenc beteg) során. A vizsgálatok azt mérték, hogy hány betegnél alakult ki mélyvénás trombózis (DVT: vérrög kialakulása a mélyvénákban, általában a lábban) a kezelést követő 30 napban. A veleszületett antitrombin-hiányos állapot ritka (a becslések szerint 3000-5000 emberből egynél áll fenn), ez magyarázza, hogy miért kezeltek ilyen kevés beteget a vizsgálat során.

Ezenfelül, öt betegnél az ATryn-t „engedélyezés előtti kezelési program” keretében (olyan program, amelyben az orvos még nem engedélyezett gyógyszert kérhet betege számára) alkalmazták műtét során.

Milyen előnyei voltak az ATryn alkalmazásának a vizsgálatok során?

A vizsgálatban a 13 beteg közül, akiknél a kezelés hatékonyságát értékelni lehetett, két betegnél alakult ki mélyvénás trombózis, és kezelésre csupán egyikük esetében volt szükség. Az engedélyezés előtti kezelési programban az ATryn-kezelésben részesült betegeknél nem figyeltek meg vérrögképződést. Az eredmények együttesen azt támasztják alá, hogy az ATryn hatékonyan előzi meg a vérrögképződést a sebészeti beavatkozáson áteső betegeknél. Nincs azonban elegendő információ a szülés közben alkalmazandó legmegalóbb dózis meghatározásához.

Milyen kockázatokkal jár az ATryn alkalmazása?

A vizsgálatok során az ATryn leggyakoribb mellékhatásai (100 beteg közül 1-10-nél jelentkezik) a szédülés, fejfájás, vérzések (beleértve az injekció helyén vagy a sebészi beavatkozás után kialakuló vérzéseket), érzéktelenség és a seb váladékozása (váladékképződés a sebészi metszés helyén).

Az ATryn nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiások) lehetnek a kecskefehérjével vagy a kecsketejjel szemben. Mivel az ATryn injekcióval beadott fehérje, a betegeknél antitestek termelődhetnek (a gyógyszer ellen termelődő fehérjék), ezért az injekció beadásakor fennáll az allergiás reakció kialakulásának kockázata. Ezt azonban az ATryn-nal kezelt betegeknél eddig nem tapasztalták. Az ATryn alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az ATryn forgalomba hozatalát?

A CHMP arra a következtetésre jutott, hogy a vállalat által benyújtott adatok igazolják, hogy az ajánlott dózisban alkalmazott ATryn az antitrombin-aktivitást sebészi beavatkozás során képes elfogadható szintre emelni. A bizottság megállapította, hogy az ATryn alkalmazásának előnyei

meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Az Atryn forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni az Atryn-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

Milyen információk várhatók még az Atryn-nal kapcsolatban?

Az Atryn-t gyártó vállalat bemutatta az Atryn-nak a veleszületett antitrombin-hiányban szenvedő nőknél a szülés során történő alkalmazását tanulmányozó vizsgálat eredményeit az Ügynökségnek, és kérelmet fog benyújtani a szülés közbeni kezelésnek a forgalomba hozatali engedélyhez való hozzáadására vonatkozóan. A vállalat bármely európai uniós (EU) tagállamban jóváhagyott forgalomba hozatal előtt olyan programokat is be fog vezetni, amelyek biztosítják, hogy az orvosok jelentést küldhessenek a kezelt betegekről, és figyelemmel kísérhessék az Atryn elleni antitestek termelődését.

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

Az Atryn biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Atryn-nal kapcsolatos egyéb információ

2006. július 28-án az Európai Bizottság az Atryn-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

Az Atryn-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 Atryn-nal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 06-2016.