



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

ATryn

antitrombine alfa

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor ATryn. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van ATryn vast te stellen.

Wat is ATryn?

ATryn is een poeder waarmee een oplossing voor infusie (langzame indruppeling in een ader) wordt gemaakt. Het bevat de werkzame stof antitrombine alfa.

Wanneer wordt ATryn voorgeschreven?

ATryn wordt gebruikt bij patiënten met 'congenitale antitrombinedeficiëntie' (een erfelijk bepaald tekort aan het eiwit antitrombine). Het wordt gebruikt bij patiënten die een operatie moeten ondergaan, ter voorkoming van problemen als gevolg van stolselvorming in de bloedvaten. ATryn wordt doorgaans toegediend samen met heparine (een ander middel dat bloedstolsels helpt voorkomen).

Dit middel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

Hoe wordt ATryn gebruikt?

De behandeling met ATryn mag alleen worden gestart door een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met een aangeboren antitrombinetekort. De arts moet de te gebruiken doses berekenen op basis van zowel het gewicht van de patiënt als het niveau van de antitrombineactiviteit.

De eerste infusie duurt 15 minuten. Daarna volgt een continue infusie met een lagere dosis, waarbij de patiënten voortdurend moeten worden gecontroleerd en de infusiesnelheid moet worden aangepast,



zodat de antitrombineactiviteit gedurende de behandeling ten minste 80% van het normale niveau bedraagt. Zie de bijsluiter voor de volledige instructies.

Hoe werkt ATryn?

ATryn is een middel dat stolling tegengaat. De werkzame stof in ATryn, antitrombine alfa, is een kopie van het natuurlijke bloedeiwit antitrombine, en wordt geproduceerd door middel van recombinant DNA-technologie. Het wordt gewonnen uit de melk van geiten bij wie een specifiek gen (DNA) is ingebracht waardoor ze in hun melk het menselijke eiwit kunnen produceren.

In het lichaam blokkeert antitrombine de werking van trombine, een stof die bij de bloedstolling een belangrijke rol vervult. Patiënten met een aangeboren antitrombinetekort hebben een laag gehalte aan antitrombine in hun bloed en lopen daarom een verhoogd risico op de vorming van bloedstolsels. ATryn corrigeert het tekort aan antitrombine en toediening ervan resulteert in een tijdelijke controle van de stollingsstoornis.

Hoe is ATryn onderzocht?

Er werd één studie uitgevoerd bij veertien patiënten in de leeftijd van 21 tot 74 jaar met een aangeboren antitrombinetekort en een risico op de vorming van bloedstolsels tijdens operatie (vijf patiënten) of bevalling (negen patiënten). In de studies werd na 30 dagen behandeling onderzocht hoeveel patiënten diepveneuze trombose (DVT – de vorming van een stolsel in een diep gelegen bloedvat, meestal in de benen) hadden ontwikkeld. De aandoening komt zelden voor (naar schatting bij circa één op de 3 000 tot 5 000 personen), hetgeen verklaart waarom tijdens de studie maar zo weinig patiënten zijn behandeld.

Bovendien werd ATryn toegediend aan vijf patiënten die het geneesmiddel tijdens een operatie kregen toegediend in het kader van een 'compassionate use'-programma (wanneer een firma het middel voordat het volledig is goedgekeurd beschikbaar stelt aan artsen voor de behandeling van een specifieke patiënt die het nodig heeft).

Welke voordelen bleek ATryn tijdens de studies te hebben?

In de studie deed zich een episode van DVT voor bij twee van de dertien patiënten bij wie de werkzaamheid van de behandeling kon worden beoordeeld; van deze twee patiënten hoefde er maar één te worden behandeld. In het 'compassionate use'-programma werden geen bloedstolsels waargenomen bij patiënten die ATryn ontvingen. De resultaten tezamen ondersteunen de werkzaamheid van ATryn om de ontwikkeling van bloedstolsels te voorkomen bij patiënten die een operatie ondergaan. Er was echter onvoldoende informatie om de juiste dosis vast te stellen tijdens een bevalling.

Welke risico's houdt het gebruik van ATryn in?

De meest voorkomende bijwerkingen in studies met ATryn (waargenomen bij 1 tot 10 op de 100 patiënten) waren duizeligheid, hoofdpijn, hemorragie (bloeding, inclusief bloeding op de injectieplaats of bloeding na een operatie), misselijkheid en wondvocht (afscheiding op de plaats waar de chirurgische insnijding is gemaakt).

ATryn mag niet worden gebruikt bij mensen die mogelijk overgevoelig (allergisch) zijn voor geiteneiwitten of geitenmelk. Omdat ATryn een eiwit is dat door injectie wordt toegediend, kunnen patiënten antilichamen vormen (het lichaam produceert dan eiwitten specifiek gericht tegen het

geneesmiddel), wat gepaard gaat met een risico van een allergische reactie wanneer de injectie wordt toegediend. Tot nu toe is dit nog niet waargenomen bij met ATryn behandelde patiënten. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor ATryn.

Waarom is ATryn goedgekeurd?

Het CHMP heeft geconcludeerd dat de door de firma verstrekte informatie heeft aangetoond dat ATryn bij gebruik in de aanbevolen dosis de antitrombineactiviteit weer op een aanvaardbaar niveau kan brengen bij patiënten die een operatie ondergaan. Het Comité heeft geconcludeerd dat de voordelen van ATryn groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van ATryn.

ATryn is goedgekeurd onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit houdt in dat het niet mogelijk is volledige informatie over ATryn te verzamelen omdat de aandoening maar zelden voorkomt. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor ATryn?

De firma die ATryn produceert, heeft het Geneesmiddelenbureau de resultaten verstrekt van een studie waarin het gebruik van ATryn wordt beoordeeld tijdens de bevalling bij vrouwen met een aangeboren antitrombinetekort, en zal een formele aanvraag indienen om behandeling tijdens bevalling op te nemen in de handelsvergunning van het middel. Daarnaast worden er, voor het middel in een lidstaat van de Europese Unie op de markt komt, programma's ontwikkeld om ervoor te zorgen dat artsen verslag kunnen uitbrengen over de patiënten die ze behandelen en om de ontwikkeling van antilichamen tegen ATryn te controleren.

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

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die beroepsbeoefenaars in de gezondheidszorg en patiënten moeten naleven voor een veilig en doeltreffend gebruik van ATryn, zijn ook in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter opgenomen.

Overige informatie over ATryn

De Europese Commissie heeft op 28 juli 2006 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van ATryn verleend.

Het volledige EPAR voor ATryn 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 ATryn.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 06-2016.