



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/642293/2018
EMA/H/C/003855

Coagadex (*humane coagulatiefactor X*)

Een overzicht van Coagadex en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Coagadex en wanneer wordt het voorgeschreven?

Coagadex is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling en preventie van bloedingen (waaronder bloedingen tijdens en na een operatie) bij patiënten met erfelijke factor X-deficiëntie. Factor X-deficiëntie is een bloedingsstoornis die wordt veroorzaakt door een tekort aan factor X, een eiwit dat nodig is voor de normale stolling van het bloed.

Factor X-deficiëntie is zeldzaam, en Coagadex werd op 14 september 2007 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel kan hier worden gevonden: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Coagadex bevat de werkzame stof humane coagulatiefactor X.

Hoe wordt Coagadex gebruikt?

Coagadex wordt toegediend via injectie in een ader. De dosering en de frequentie van de injecties hangen af van de ernst van het factor X-tekort van de patiënt, van de mate en de plaats van de bloeding en van de toestand en het lichaamsgewicht van de patiënt.

Coagadex is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van zeldzame bloedingsstoornissen. Patiënten kunnen zichzelf thuis met Coagadex injecteren zodra zij naar behoren hierin zijn geoefend. Voor meer informatie over het gebruik van Coagadex, zie de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker.

Hoe werkt Coagadex?

Patiënten met erfelijke factor X-deficiëntie hebben niet voldoende factor X, een eiwit dat nodig is voor de vorming van het bloedstolsel dat ervoor zorgt dat wonden niet meer bloeden. Bij deze patiënten vormen bloedstolsels zich niet op de juiste manier, wat resulteert in bloedingen die niet makkelijk stoppen en in slechte wondgenezing. De werkzame stof in Coagadex is humane factor X, geïsoleerd uit



het plasma van bloeddonoren. Door de ontbrekende factor X te vervangen, helpt Coagadex het bloed te stollen en worden bloedingen tijdelijk onder controle gebracht.

Welke voordelen bleek Coagadex tijdens de studies te hebben?

Coagadex is onderzocht in één hoofdstudie onder 16 patiënten van 12 tot 58 jaar oud met erfelijke factor X-deficiëntie. Patiënten kregen Coagadex ofwel voor de behandeling van spontane bloedingen die optraden tijdens de behandelperiode, ofwel voor de preventie van bloedingen tijdens een operatie. De belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid was gebaseerd op de beoordeling van de arts en de patiënt van hoe goed de behandeling werkte bij het voorkomen en behandelen van bloedingsepisoden.

Voor de behandeling van bloedingen werden 187 bloedingsepisoden geregistreerd en beoordeeld, en de behandeling met Coagadex werd gewaardeerd als 'uitstekend' of 'goed' voor 98,4% van de bloedingsepisoden. Bij de 3 lichte operaties die tijdens de studie plaatsvonden, werd Coagadex gewaardeerd als uitstekend wat betreft het voorkomen van bloedingsepisoden.

In een studie onder 9 kinderen jonger dan 12 jaar (van wie er 4 jonger dan 4 jaar waren), werd een standaard preventieve behandeling met Coagadex gedurende 6 maanden gewaardeerd als uitstekend bij het verminderen of voorkomen van bloedingsepisoden. In totaal werden in de studie 10 bloedingen gemeld, waarvan er 4 werden behandeld met Coagadex. Eén enkele infusie van Coagadex was voldoende om elk behandeld bloedingsvoorval onder controle te brengen.

Welke risico's houdt het gebruik van Coagadex in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Coagadex (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn pijn of roodheid op de injectieplaats, vermoeidheid en rugpijn.

In zeer zeldzame gevallen (bij maximaal 1 op de 1 000 patiënten) kunnen overgevoelighedsreacties (allergische reacties) optreden bij voor bloedingsstoornissen behandelde patiënten, en deze kunnen in sommige gevallen ernstig zijn. Deze reacties zijn niet gemeld tijdens klinische studies met Coagadex.

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

Waarom is Coagadex geregistreerd in de EU?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Coagadex groter zijn dan de risico's en dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU. Het bureau nam het ontbreken van specifieke therapieën voor factor X-deficiëntie in overweging, en concludeerde dat Coagadex werkzaam is voor het behandelen en voorkomen van bloedingen bij patiënten die de aandoening hebben. De bijwerkingen van Coagadex werden beheersbaar geacht en waren licht of matig van intensiteit. Gezien de buitengewone zeldzaamheid van de aandoening is de veiligheidsdatabase echter klein en wordt niet verwacht dat zeldzame voorvallen tijdens de klinische studies zullen worden gedetecteerd.

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

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Coagadex, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Coagadex continu in de gaten gehouden. Bijwerkingen waargenomen voor Coagadex worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Coagadex

Coagadex heeft op 16 maart 2016 een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen gekregen.

Meer informatie over Coagadex 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).

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 08-2018.