



EMA/308649/2012  
EMEA/H/C/000276

## EPAR – sammendrag for offentligheden

---

# Helixate NexGen

human koagulationsfaktor VIII (octocog alfa)

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Helixate NexGen. 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 anvendelsesbetingelserne for Helixate NexGen.

### Hvad er Helixate NexGen?

Helixate NexGen består af et pulver og en saltvandsopløsning, som blandes til en injektionsvæske, opløsning. Helixate NexGen indeholder det aktive stof human koagulationsfaktor VIII (octocog alfa).

### Hvad anvendes Helixate NexGen til?

Helixate NexGen anvendes til behandling og forebyggelse af blødning hos patienter med hæmofili A (medfødte blødningsforstyrrelser). Helixate NexGen er beregnet enten til kortvarig eller langvarig behandling.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

### Hvordan anvendes Helixate NexGen?

Behandling med Helixate NexGen bør indledes af en læge med erfaring i behandling af hæmofili.

Helixate NexGen gives ved injektion i en vene over flere minutter. Dosis og injektionshyppighed afhænger af, om Helixate NexGen anvendes til behandling eller forebyggelse af blødning eller til at mindske blødning under et kirurgisk indgreb. Dosis tilpasses afhængigt af sværhedsgrad og blødningssted eller arten af det kirurgiske indgreb. Helixate NexGen kan også gives kontinuerligt i op til syv dage som en infusion (drop i en vene) hos patienter, som gennemgår større kirurgiske indgreb.

De nærmere oplysninger om, hvordan doserne beregnes, fremgår af produktresuméet (også en del af denne EPAR).



## Hvordan virker Helixate NexGen?

Det aktive stof i Helixate NexGen, human koagulationsfaktor VIII, er et stof, der hjælper blodet med at størkne. Patienter med hæmofili A mangler faktor VIII, hvilket medfører blodstørkningsproblemer såsom blødninger i led, muskler eller indre organer. Helixate NexGen anvendes til at korrigere manglen på faktor VIII ved at erstatte den manglende faktor VIII, hvorved der opnås midlertidig kontrol med blødningsforstyrrelser.

Human koagulationsfaktor VIII i Helixate NexGen udvindes ikke af humant blod, men produceres ved hjælp af en metode, der kaldes "rekombinant dna-teknologi". Det fremstilles af en celle, som har modtaget et gen (dna), der sætter det i stand til at producere human koagulationsfaktor VIII.

## Hvordan blev Helixate NexGen undersøgt?

Helixate NexGen ligner et andet lægemiddel, som tidligere er godkendt i Den Europæiske Union (EU), kaldet Helixate, men fremstilles på en anden måde, så lægemidlet ikke indeholder humant afledte proteiner. Derfor er Helixate NexGen blevet sammenlignet med Helixate for at vise, at de to lægemidler svarer til hinanden.

Helixate NexGen givet som en injektion i en vene blev undersøgt hos 66 patienter, som tidligere er blevet behandlet med rekombinant human koagulationsfaktor VIII, og hos 61 børn, som ikke har modtaget denne behandling. De primære effektmål i undersøgelserne var antallet af behandlinger, som var nødvendigt for at standse hver ny blødning.

Helixate NexGen givet som en kontinuerlig infusion blev også undersøgt hos 15 patienter med hæmofili A, der gennemgik større kirurgiske indgreb. Det primære effektmål var lægens vurdering af, hvor godt blødningen var standset.

Nogle patienter kan udvikle faktor VIII-inhibitorer, dvs. antistoffer (proteiner), som kroppens immunsystem producerer mod faktor VIII, og som kan være årsag til, at lægemidlet holder op med at virke, hvilket medfører manglende kontrol med blødninger. Helixate NexGen givet ved høj dosis er blevet undersøgt for at se, om det er effektivt til at nedbryde antistoffer mod faktor VIII fra blodet (en proces, der kaldes immuntoleransinduktion), så behandlingen med faktor VIII forbliver effektiv.

## Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Helixate NexGen?

Som helhed reagerede 95 % af blødningerne hos de tidligere behandlede patienter på en eller to injektioner af Helixate NexGen i en vene. Hos de ikke tidligere behandlede patienter reagerede cirka 90 % af blødningsepisoderne på behandling med en eller to injektioner i en vene.

Når det blev givet som en kontinuerlig infusion, vurderedes standsningen af blødningen som "særdeles god" hos alle 15 patienter.

De data der blev fremlagt om immuntoleransinduktion hos patienter med inhibitorer, viste, at den høje dosering gavner nogle patienter, og at inhibitorer kan elimineres. Dataene blev dog ikke betragtet som tilstrækkelige til specifikt at godkende lægemidlet til denne anvendelse.

## Hvilken risiko er der forbundet med Helixate NexGen?

De hyppigste bivirkninger ved Helixate NexGen (som optræder hos mellem 1 og 10 patienter ud af 100) er udvikling af antistoffer mod faktor VIII, hovedsageligt hos patienter, der ikke før er blevet behandlet med faktor VIII, reaktioner på infusionsstedet og allergiske hudreaktioner (overfølsomhed) (kløe, nældefeber og udslæt). Den fuldstændige liste over alle de indberettede bivirkninger ved Helixate NexGen fremgår af indlægssedlen.

Helixate NexGen må ikke anvendes til personer, som er overfølsomme (allergiske) over for human koagulationsfaktor VIII eller andre af indholdsstofferne. Det må heller ikke anvendes til personer, som er allergiske over for muse- eller hamsterprotein.

### **Hvorfor blev Helixate NexGen godkendt?**

CHMP besluttede, at fordelene ved Helixate NexGen opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse for Helixate NexGen.

### **Andre oplysninger om Helixate NexGen:**

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Helixate NexGen den 4. august 2000.

Den fuldstændige EPAR for Helixate NexGen 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 Helixate NexGen, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 05-2012.