



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

---

### Helixate NexGen

#### Menschlicher Blutgerinnungsfaktor VIII (Octocog alfa)

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Helixate NexGen. Hierin wird erläutert, wie der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) das Arzneimittel beurteilt hat, um zu seinem befürwortenden Gutachten zur Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen und seinen Empfehlungen zu den Anwendungsbedingungen für Helixate NexGen zu gelangen.

#### Was ist Helixate NexGen?

Helixate NexGen besteht aus einem Pulver und einem Lösungsmittel, die zur Herstellung einer Injektionslösung gemischt werden. Helixate NexGen enthält als Wirkstoff den menschlichen Gerinnungsfaktor VIII (Octocog alfa).

#### Wofür wird Helixate NexGen angewendet?

Helixate NexGen wird zur Behandlung und Vorbeugung von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (einer angeborenen Blutgerinnungsstörung) angewendet. Helixate NexGen ist sowohl zur kurz- als auch zur langfristigen Anwendung angezeigt.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.

#### Wie wird Helixate NexGen angewendet?

Die Behandlung mit Helixate NexGen sollte von einem Arzt eingeleitet werden, der über Erfahrung in der Behandlung von Hämophilie verfügt.

Helixate NexGen wird als Injektion in eine Vene über einen Zeitraum von einigen Minuten angewendet. Die Dosierung und die Häufigkeit der Injektionen richten sich danach, ob Helixate NexGen zur Behandlung oder Vorbeugung von Blutungen oder zur Verringerung von Blutungen bei chirurgischen Eingriffen eingesetzt wird. Die Dosis wird je nach Schweregrad und Ort der Blutung bzw. je nach Art



des chirurgischen Eingriffes angepasst. Helixate NexGen kann auch als kontinuierliche Infusion (Tropfinfusion in eine Vene) über bis zu sieben Tage bei Patienten angewendet werden, bei denen ein größerer chirurgischer Eingriff durchgeführt wird.

Ausführliche Erläuterungen zur Berechnung der Dosierungen sind der Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels zu entnehmen (ebenfalls Bestandteil des EPAR).

## Wie wirkt Helixate NexGen?

Der Wirkstoff in Helixate NexGen, der menschliche Gerinnungsfaktor VIII, ist ein Stoff, der die Blutgerinnung unterstützt. Patienten mit Hämophilie A leiden an einem Faktor VIII-Mangel, was Blutgerinnungsprobleme wie Blutungen in den Gelenken, Muskeln und inneren Organen verursacht. Helixate NexGen wird verwendet, um den Faktor VIII-Mangel zu korrigieren, indem der fehlende Faktor VIII ersetzt und eine vorübergehende Kontrolle der Blutungsstörung ermöglicht wird.

Der menschliche Gerinnungsfaktor VIII in Helixate NexGen wird nicht aus menschlichem Blut extrahiert, sondern nach einer Methode hergestellt, die als „rekombinante DNA-Technologie“ bezeichnet wird: Er wird von einer Zelle produziert, in die ein Gen (DNA) eingebracht wurde, das sie zur Bildung des menschlichen Gerinnungsfaktors VIII befähigt.

## Wie wurde Helixate NexGen untersucht?

Helixate NexGen ist einem anderen in der Europäischen Union (EU) bereits zugelassenen Arzneimittel namens Helixate ähnlich, wird jedoch anders hergestellt, sodass das Arzneimittel keine Proteine humanen Ursprungs enthält. Aus diesem Grund wurde Helixate NexGen mit Helixate verglichen, um zu zeigen, dass beide Arzneimittel äquivalent sind.

Helixate NexGen wurde, als Injektion in eine Vene verabreicht, bei 66 Patienten, die zuvor mit rekombinantem menschlichem Gerinnungsfaktor VIII behandelt worden waren, und bei 61 nicht behandelten Kindern untersucht. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war bei diesen Studien die Anzahl der Behandlungen, die erforderlich waren, um jede neu auftretende Blutung zu stoppen.

Helixate NexGen wurde darüber hinaus als kontinuierliche Infusion bei 15 Patienten mit Hämophilie A, bei denen ein größerer chirurgischer Eingriff vorgenommen wurde, untersucht. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Beurteilung des Arztes, wie gut die Blutung gestoppt wurde.

Manche Patienten können Faktor VIII-Hemmkörper entwickeln, d. h. Antikörper (Proteine), die das Immunsystem des Körpers gegen Faktor VIII bildet und die dazu führen können, dass das Arzneimittel nicht mehr wirkt und sich die Blutung nicht mehr kontrollieren lässt. Helixate NexGen wurde in hoher Dosis untersucht, um festzustellen, ob es die Antikörper gegen Faktor VIII wirksam aus dem Blut entfernt (dieser Prozess wird als Immuntoleranzinduktion bezeichnet), sodass die Behandlung mit Faktor VIII wirksam bleibt.

## Welchen Nutzen hat Helixate NexGen in diesen Studien gezeigt?

Bei den vorbehandelten Patienten lag die Ansprechrate bei einer oder zwei Injektionen von Helixate NexGen in eine Vene bei insgesamt 95 % der Blutungen. Bei den nicht vorbehandelten Patienten lag die Ansprechrate bei einer Behandlung mit einer oder zwei Injektionen in eine Vene bei etwa 90 % der Blutungsepisoden.

Bei der Verabreichung als kontinuierliche Infusion wurde die Blutstillung bei allen 15 Patienten als „ausgezeichnet“ beurteilt.

Die Daten zur Immuntoleranzinduktion bei Patienten mit Hemmkörpern zeigten zwar, dass bei einigen Patienten eine hohe Dosierung hilfreich sein kann und die Hemmkörper eliminiert werden konnten, diese Daten wurden jedoch als nicht ausreichend eingestuft, um das Arzneimittel speziell für diese Anwendung zuzulassen.

### **Welches Risiko ist mit Helixate NexGen verbunden?**

Sehr häufige Nebenwirkungen von Helixate NexGen (beobachtet bei 1 bis 10 von 100 Patienten) sind die Entwicklung von Antikörpern gegen Faktor VIII, insbesondere bei nicht mit Faktor VIII vorbehandelten Patienten, Reaktionen an der Infusionsstelle und Überempfindlichkeitsreaktionen (allergische Reaktionen) der Haut (Juckreiz, Nesselsucht und Hautausschlag). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Helixate NexGen berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Helixate NexGen darf nicht bei Patienten angewendet werden, die nachweislich überempfindlich (allergisch) gegen menschlichen Gerinnungsfaktor VIII oder einen der sonstigen Bestandteile sind. Es darf ferner nicht bei Patienten angewendet werden, die nachweislich allergisch gegen Maus- oder Hamsterproteine sind.

### **Warum wurde Helixate NexGen zugelassen?**

Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Helixate NexGen gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

### **Weitere Informationen über Helixate NexGen**

Am 4. August 2000 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Helixate NexGen in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Helixate NexGen finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Helixate NexGen benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 05-2012 aktualisiert.