



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/654034/2017
EMA/H/C/000276

Περίληψη EPAR για το κοινό

Helixate NexGen

octocog alfa

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Helixate NexGen. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση, και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Helixate NexGen.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του Helixate NexGen, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευτούν το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Helixate NexGen και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Helixate NexGen είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για την αντιμετώπιση και την πρόληψη της αιμορραγίας σε ασθενείς όλων των ηλικιών με αιμορροφιλία Α (κληρονομική αιμορραγική διαταραχή που προκαλείται λόγω έλλειψης του παράγοντα VIII). Το Helixate NexGen περιέχει τη δραστική ουσία octocog alfa (ανθρώπινος παράγοντας πήξης VIII).

Πώς χρησιμοποιείται το Helixate NexGen;

Το Helixate NexGen χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η θεραπεία πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με πείρα στη θεραπεία της αιμορροφιλίας.

Το Helixate NexGen διατίθεται υπό μορφή σκόνης και διαλύτη, τα οποία αναμειγνύονται για την παρασκευή ενέσιμου διαλύματος ή διαλύματος προς έγχυση (στάγδην χορήγηση) εντός της φλέβας. Η δόση και η συχνότητα της θεραπείας εξαρτώνται από το εάν το εν λόγω φάρμακο χρησιμοποιείται για την αντιμετώπιση ή την πρόληψη της αιμορραγίας ή κατά τη διάρκεια χειρουργικής επέμβασης, από τα επίπεδα του παράγοντα VIII του ασθενούς, τη σοβαρότητα της αιμορροφιλίας, την έκταση και τη θέση της αιμορραγίας, καθώς και από την κατάσταση και το σωματικό βάρος του ασθενούς. Η δόση θα πρέπει να προσαρμόζεται αναλόγως στην περίπτωση που το Helixate NexGen θα χορηγείται σε συνεχή βάση ως

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu Website www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



ενδοφλέβια έγχυση. Το Helixate NexGen μπορεί να χορηγείται για βραχυχρόνια ή μακροχρόνια θεραπεία.

Μετά από κατάλληλη εκπαίδευση, οι ασθενείς ή τα άτομα που τους φροντίζουν μπορούν να χορηγούν μόνοι τους το Helixate NexGen στο σπίτι. Αναλυτικές πληροφορίες περιλαμβάνονται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Πώς δρα το Helixate NexGen;

Η δραστική ουσία του Helixate NexGen, η octocog alfa (ανθρώπινος παράγοντας πήξης VIII) είναι μια ουσία που βοηθά στην πήξη του αίματος. Στους ασθενείς με αιμορροφιλία A παρατηρείται έλλειψη του παράγοντα VIII και αυτό δημιουργεί προβλήματα πήξης του αίματος, όπως αιμορραγία στις αρθρώσεις, στους μύες ή τα εσωτερικά όργανα. Το Helixate NexGen χορηγείται προκειμένου να αποκαταστήσει την ανεπάρκεια αυτή ως υποκατάστατο του παράγοντα VIII που λείπει, ελέγχοντας προσωρινά την αιμορραγική διαταραχή.

Η δραστική ουσία octocog alfa παράγεται με τη μέθοδο που είναι γνωστή ως «τεχνολογία ανασυνδυασμένου DNA»: παρασκευάζεται από κύτταρα στα οποία ενσωματώνεται ένα γονίδιο (DNA) το οποίο καθιστά τα κύτταρα ικανά να παράγουν τη εν λόγω δραστική ουσία.

Ποια είναι τα οφέλη του Helixate NexGen σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Helixate NexGen είναι παρόμοιο με φάρμακο που έχει ήδη λάβει έγκριση στην Ευρωπαϊκή Ένωση (ΕΕ) με την ονομασία Helixate, αλλά παρασκευάζεται με διαφορετικό τρόπο, ώστε να μην περιέχει πρωτεΐνες ανθρώπινης προέλευσης. Για τον λόγο αυτό, το Helixate NexGen συγκρίθηκε με το Helixate, ούτως ώστε να αποδειχθεί η ισοδυναμία των δύο φαρμάκων.

Το Helixate NexGen χορηγούμενο ως ενδοφλέβια έγχυση μελετήθηκε σε 66 ασθενείς που είχαν ήδη υποβληθεί κατά το παρελθόν σε αγωγή με ανασυνδυασμένο ανθρώπινο παράγοντα πήξης VIII και σε 61 παιδιά που δεν είχαν λάβει ανάλογη αγωγή. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας στις μελέτες ήταν ο αριθμός των αγωγών στις οποίες χρειάστηκε να υποβληθούν οι ασθενείς για να σταματήσει κάθε νέα αιμορραγία. Στους ασθενείς που είχαν υποβληθεί σε προηγούμενη αγωγή, υπήρξε συνολικά ανταπόκριση στο 95% των αιμορραγιών ύστερα από μία ή δύο ενδοφλέβιες ενέσεις Helixate NexGen. Στους ασθενείς που δεν είχαν υποβληθεί σε προηγούμενη αγωγή, υπήρξε ανταπόκριση στο 90% περίπου των αιμορραγικών επεισοδίων ύστερα από μία ή δύο ενδοφλέβιες ενέσεις.

Το Helixate NexGen ως συνεχής έγχυση μελετήθηκε επίσης σε 15 ασθενείς με αιμορροφιλία A, οι οποίοι υποβλήθηκαν σε μείζονα χειρουργική επέμβαση. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η εκτίμηση του γιατρού σχετικά με τον βαθμό στον οποίο διακόπηκε η αιμορραγία. Η διακοπή της αιμορραγίας αξιολογήθηκε ως «άριστη» και για τους 15 ασθενείς.

Ορισμένοι ασθενείς μπορεί να αναπτύξουν αναστολές του παράγοντα VIII, οι οποίοι είναι αντισώματα (πρωτεΐνες) που παράγονται από το ανοσοποιητικό σύστημα του οργανισμού ενάντια στον παράγοντα VIII και μπορούν να προκαλέσουν τη διακοπή της δράσης του φαρμάκου, οδηγώντας σε απώλεια του ελέγχου της αιμορραγίας. Η χορήγηση του Helixate NexGen σε μεγάλη δόση μελετήθηκε προκειμένου να εξεταστεί η αποτελεσματικότητά του στην κάθαρση των αντισωμάτων έναντι του παράγοντα VIII από το αίμα (μια διαδικασία γνωστή ως επαγωγή ανοσολογικής ανοχής) ούτως ώστε η θεραπεία με παράγοντα VIII να παραμένει αποτελεσματική. Από τα στοιχεία που υποβλήθηκαν σχετικά με την επαγωγή ανοσολογικής ανοχής σε ασθενείς με αναστολές προέκυψε ότι ορισμένοι ασθενείς επωφελούνται από τη μεγάλη δόση και ότι οι αναστολές θα μπορούσαν να εξαλειφθούν. Ωστόσο, τα εν

λόγω στοιχεία δεν κρίθηκαν επαρκή ούτως ώστε να εγκριθεί το φάρμακο ειδικά για τη συγκεκριμένη χρήση.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Helixate NexGen;

Έχουν αναφερθεί αντιδράσεις υπερευαισθησίας (αλλεργίας) με φάρμακα του παράγοντα VIII, οι οποίες σε ορισμένες περιπτώσεις ενδέχεται να εξελιχθούν σε σοβαρές. Ενδέχεται να εμφανιστούν συνήθεις δερματικές αντιδράσεις υπερευαισθησίας (κνησμός, κνίδωση και εξάνθημα) (παρατηρούνται σε 1 έως 10 ασθενείς στους 100). Οι σοβαρές αλλεργικές αντιδράσεις είναι σπάνιες (παρατηρούνται σε 1 έως 10 στους 10.000 ασθενείς).

Με τα φάρμακα του παράγοντα VIII υπάρχει ο κίνδυνος ορισμένοι ασθενείς να αναπτύξουν αντισώματα (αντισώματα) έναντι του παράγοντα VIII, με αποτέλεσμα να διακοπεί η δράση του φαρμάκου οδηγώντας σε απώλεια του ελέγχου της αιμορραγίας. Σε τέτοιες περιπτώσεις, οι ασθενείς θα πρέπει να επικοινωνούν με εξειδικευμένο κέντρο αιμορροφιλίας.

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Helixate NexGen περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης. Το Helixate NexGen δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που ενδέχεται να παρουσιάσουν υπερευαισθησία (αλλεργία) στον ανθρώπινο παράγοντα πήξης VIII, σε πρωτεΐνες ποντικών και ινδικών χοιριδίων ή σε οποιοδήποτε άλλο από τα συστατικά του φαρμάκου.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Helixate NexGen;

Ο Οργανισμός έκρινε ότι τα οφέλη του Helixate NexGen υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο. Ο Οργανισμός κατέληξε στο συμπέρασμα ότι το Helixate NexGen αποδείχθηκε αποτελεσματικό στη θεραπεία και την πρόληψη των αιμορραγιών σε ασθενείς με αιμορροφιλία Α και ότι παρουσιάζει αποδεκτή εικόνα ασφάλειας.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Helixate NexGen;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Helixate NexGen.

Λοιπές πληροφορίες για το Helixate NexGen

Στις 4 Αυγούστου 2000, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Helixate NexGen.

Η πλήρης EPAR του Helixate NexGen διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Helixate NexGen, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 10-2017.