



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Helixate NexGen

oktokogialfa

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee lääkevalmistetta nimeltä Helixate NexGen. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt suositukseen myyntiluvan myöntämisestä sille EU:ssa ja sen käytön eendoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Helixate NexGenin käytöstä.

Potilas saa Helixate NexGenin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Helixate NexGen on ja mihin sitä käytetään?

Helixate NexGen on lääkevalmiste, jota käytetään verenvuotojen hoitoon ja ehkäisyyn potilailla, jotka sairastavat hemofilia A:ta (perinnöllinen verenvuototauti, jonka aiheuttaa hyytymistekijä VIII:n puutos). Helixate NexGenin vaikuttava aine on oktokogialfa (ihmisen hyytymistekijä VIII).

Miten Helixate NexGenia käytetään?

Helixate NexGenia saa aloastaan lääkärin määräyksestä, ja hemofilian hoitoon erikoistuneen lääkärin on aloitettava hoito.

Helixate NexGenia on saatavana kuiva-aineena ja liuottimena, joista sekoitetaan liuos injektiota tai infuusiota (inutus) varten laskimoon. Annos ja hoidon kesto määräytyvät sen mukaan, käytetäänkö Helixate NexGenia verenvuodon hoitoon vai ennaltaehkäisyyn vai leikkauksessa, sekä potilaan hyytymistekijä VIII -pitoisuuden ja hemofilian vaikeusasteen, verenvuodon laajuuden, vuotokohdan sekä potilaan tilan ja painon mukaan. Annosta voi olla tarpeen muuttaa, jos Helixate NexGenia annetaan jatkuvana infuusiona laskimoon. Helixate NexGen on tarkoitettu joko lyhytaikaiseen tai pitkäaikaiseen käyttöön.

Potilaat tai heidän hoitajansa voivat antaa Helixate NexGenin itse saatuaan sitä varten asianmukaista opastusta. Tarkempaa tietoa on pakkausselosteessa.



Miten Helixate NexGen vaikuttaa?

Helixate NexGenin vaikuttava aine oktokogialfa (ihmisen hyytymistekijä VIII) on aine, joka edistää veren hyytymistä. A-hemofiliapotilailta puuttuu hyytymistekijää VIII, mikä aiheuttaa verenvuoto-ongelmia, kuten verenvuotoja nivelissä, lihaksissa tai sisäelimissä. Helixate NexGenia käytetään korjaamaan hyytymistekijä VIII:n puuttuminen korvaamalla se, jolloin verenvuotosairaus saadaan väliaikaisesti hallintaan.

Oktokogialfaa tuotetaan yhdistelmä-DNA-tekniikalla: sitä valmistavat solut, joihin on viety oktokogialfan tuottamisen mahdollistava geeni (DNA).

Mitä hyötyä Helixate NexGen -valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Helixate NexGen on samanlainen kuin toinen EU:ssa hyväksytty lääke Helixate, mutta se valmistetaan eri tavalla siten, ettei lääkkeessä ole ihmis- tai eläinperäisiä proteiineja. Tämän takia Helixate NexGen on verrattu Helixateen, jotta voidaan osoittaa näiden kahden lääkkeen samanarvoisuus.

Helixate NexGenia - annettuna injektiona laskimoon - tutkittiin 66 potilaalla, joita oli aiemmin hoidettu rekombinantilla ihmisen hyytymistekijä VIII:lla, ja 61 hoitamattomalla lapsella. Tutkimusten tehon pääasiallisena mittana oli jokaisen uuden verenvuototapahtuman tyrehtyttämiseen tarvittavien hoitojen määrä. Aiemmin hoidetuilla potilailla yksi tai kaksi Helixate NexGen -injektiota laskimoon tehosi keskimäärin 95 %:iin verenvuodoista. Aiemmin hoitamattomilla potilailla yksi tai kaksi injektiota laskimoon tehosi keskimäärin 90 %:iin verenvuototapahtumista.

Helixate NexGenia, kun sitä annettiin jatkuvana infuusiona, tutkittiin 15 hemofilia A -potilaalla, joille tehtiin suuri leikkaus. Tehon pääasiallisena mittana oli lääkärin arvio siitä, miten hyvin verenvuoto oli saatu tyrehtymään. Verenvuodon tyrehtymisen arvioitiin olevan "erinomainen" kaikilla 15 potilaalla.

Joillakin potilailla saattaa kehittyä hyytymistekijä VIII:n estäjiä. Ne ovat vasta-aineita (proteiineja), joita elimistön immuunijärjestelmä tuottaa hyytymistekijä VIII:aa vastaan. Tällöin lääke voi lakata tehoamasta ja verenvuototaipumusta ei enää voida hallita. On myös tutkittu, onko suurena annoksena käytetty Helixate NexGen tehokas hyytymistekijä VIII:n vasta-aineiden poistamisessa verestä (tätä prosessia kutsutaan immuunitoleranssin induktioksi), jotta tekijä VIII:llä annettu hoito pysyisi tehokkaana. Tiedot immuunitoleranssin induktiosta potilailla, joilla vasta-aineita kehittyi, osoittivat, että osa potilaista hyötyi suurista annoksista ja heillä vasta-aineet saatiin poistettua. Tietoja ei kuitenkaan pidetty riittävinä, jotta lääke olisi voitu hyväksyä nimenomaan tähän käyttöön.

Mitä riskejä Helixate NexGeniin liittyy?

Yliherkkyysoireista (allergia) on ilmoitettu hyytymistekijä VIII -lääkkeiden yhteydessä, ja ne voivat joissakin tapauksissa olla vakavia. Ihoon liittyviä yliherkkyysoireita (kutina, nokkosrokko ja ihottuma) voi esiintyä yleisesti (1 - 10 potilaalla 100:sta) mutta vakavat allergiset reaktio ovat harvinaisia (1-10 potilaalla 10 000:sta).

Lisäksi hyytymistekijä VIII:ta sisältävät lääkkeet saattavat aiheuttaa hyytymistekijä VIII:n estäjän (vasta-aineiden) kehittymistä, jolloin lääke ei enää tehoa eikä verenvuoto pysy hallinnassa. Mikäli näin käy, tulee ottaa yhteyttä hemofiliakeskukseen.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Helixate NexGenin ilmoitetuista sivuvaikutuksista. Henkilöiden, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) ihmisen hyytymistekijälle, hiiri- tai hamsteriproteiinille tai lääkkeen jollekin muulle ainesosalle, eivät saa käyttää Helixate NexGenia.

Miksi Helixate NexGen on hyväksytty?

Virasto katsoi, että Helixate NexGenin hyöty on sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille. Virasto katsoi, että Helixate NexGenin on osoitettu olevan tehokas verenvuodon hoidossa ja ehkäisyssä hemofilia A -potilailla ja että sen turvallisuusprofiili on hyväksyttävä.

Miten voidaan varmistaa Helixate NexGenin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Helixate NexGenin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Muita tietoja Helixate NexGen -valmisteesta

Euroopan komissio myönsi 4. elokuuta 2000 Helixate NexGenille koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan.

Helixate NexGenia koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lisää tietoa Helixate NexGenilla annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tätä yhteenvetoa on päivitetty viimeksi 10-2017.