



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

## EPAR-samenvatting voor het publiek

---

# Helixate NexGen

octocog alfa

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Helixate NexGen. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Helixate NexGen.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Helixate NexGen.

## Wat is Helixate NexGen en wanneer wordt het voorgeschreven?

Helixate NexGen is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor het behandelen en voorkomen van bloedingen bij patiënten met hemofilie A (een erfelijke bloedingsstoornis veroorzaakt door een tekort aan factor VIII). Helixate NexGen bevat de werkzame stof octocog alfa (humane stollingsfactor VIII).

## Hoe wordt Helixate NexGen gebruikt?

Helixate NexGen is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden ingeleid door een arts die ervaring heeft in de behandeling van hemofilie.

Helixate NexGen is verkrijgbaar in de vorm van een poeder en oplosmiddel die worden gemengd tot een oplossing voor injectie of infusie (indruppeling) in een ader. De dosering en frequentie van de behandeling hangen af van de vraag of Helixate NexGen wordt gebruikt om bloedingen te behandelen of te voorkomen of tijdens een operatie, alsook van de ernst van de hemofilie, de omvang en locatie van de bloeding en de toestand en het lichaamsgewicht van de patiënt. Het kan nodig zijn om de dosis aan te passen als Helixate NexGen continu moet worden toegediend als een infusie in een ader. Helixate NexGen is bedoeld voor zowel kortdurend als langdurig gebruik.

Patiënten of hun verzorgers mogen Helixate NexGen zelf thuis toedienen zodra hun dat goed is geleerd. Zie de bijsluiter voor meer informatie.



## Hoe werkt Helixate NexGen?

De werkzame stof van Helixate NexGen, octocog alfa, is een menselijke stollingsfactor VIII, een stof die een rol speelt bij de bloedstolling. Patiënten met hemofilie A hebben geen of onvoldoende factor VIII, waardoor zij bloedstollingsproblemen krijgen, zoals bloedingen in de gewrichten, spieren of inwendige organen. Helixate NexGen dient ter vervanging van de ontbrekende factor VIII en zorgt ervoor dat de bloedziekte tijdelijk onder controle wordt gehouden.

Octocog alfa wordt vervaardigd met behulp van een methode die bekendstaat als 'recombinant-DNA-techniek', en wel door cellen waarin een gen (DNA) is ingebracht zodat octocog alfa kan worden aangemaakt.

## Welke voordelen bleek Helixate NexGen tijdens de studies te hebben?

Helixate NexGen lijkt sterk op een ander middel dat is toegelaten in de Europese Unie, Helixate, maar wordt op een andere manier bereid zodat het geen van mensen afkomstige eiwitten bevat. Om die reden is Helixate NexGen vergeleken met Helixate om aan te tonen dat beide middelen equivalent zijn.

Helixate NexGen toegediend via injectie in een ader is onderzocht bij 65 patiënten die voorheen waren behandeld met recombinant menselijke stollingsfactor VIII en bij 61 kinderen die niet een dergelijke behandeling hadden ondergaan. De belangrijkste maatstaf voor de werkzaamheid in de onderzoeken was het aantal behandelingen dat nodig was om elke nieuwe bloeding te doen stoppen. Van de reeds eerder behandelde patiënten was er in 95% van het totale aantal bloedingen een respons na één of twee injecties met Helixate NexGen in een ader. Van de voorheen niet-behandelde patiënten was er in 90% van het aantal bloedingsepisodes een respons na behandeling met één of twee injecties in een ader.

Helixate NexGen als ononderbroken infuus is ook onderzocht bij 15 patiënten met hemofilie A die een grote operatie ondergingen. De belangrijkste maatstaf voor de werkzaamheid was de beoordeling van de arts wat betreft het vermogen de bloeding te stoppen. Het vermogen tot stoppen van de bloeding werd beoordeeld als 'uitstekend' bij alle 15 patiënten.

Sommige patiënten kunnen factor VIII-remmers ontwikkelen. Dit zijn antilichamen (eiwitten) die het immuunsysteem van het lichaam aanmaakt tegen factor VIII en die ertoe kunnen leiden dat het geneesmiddel niet meer werkt met als gevolg dat bloedingen minder goed onder controle te krijgen zijn. Helixate NexGen in hoge dosering is onderzocht om te zien of het werkzaam is voor het verwijderen van antilichamen tegen factor VIII uit het bloed (een proces bekend onder de naam immuuntolerantie-inductie) zodat de behandeling met factor VIII doelmatig blijft. Uit de overgelegde gegevens over immuuntolerantie-inductie bij patiënten met remmers bleek dat sommige patiënten baat hebben bij de hoge dosering en de remmer kon worden geëlimineerd. Deze gegevens werden echter als onvoldoende beschouwd om het geneesmiddel specifiek voor dit gebruik goed te keuren.

## Welke risico's houdt het gebruik van Helixate NexGen in?

Overgevoeligheidsreacties (allergische reacties) zijn gemeld bij gebruik van factor VIII-geneesmiddelen en kunnen in sommige gevallen overgaan in ernstige allergische reacties. Overgevoeligheidsreacties op het niveau van de huid (jeuk, netelroos en uitslag) kunnen frequent optreden (bij 1 tot 10 van de 100 patiënten), maar een ernstige allergische reactie komt zelden voor (bij 1 tot 10 van de 10 000 patiënten).

Bij factor VIII-geneesmiddelen bestaat het risico dat sommige patiënten remmers (antilichamen) tegen factor VIII ontwikkelen, wat maakt dat het geneesmiddel niet langer werkt en ertoe leidt dat bloedingen minder goed onder controle te krijgen zijn. In dergelijke gevallen moet contact worden opgenomen met een gespecialiseerd hemofiliebehandelcentrum.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Helixate NexGen. Helixate NexGen mag niet worden gebruikt bij mensen die overgevoelig (allergisch) zijn voor humane stollingsfactor VIII, voor eiwit van muizen of hamsters of enig ander bestanddeel van het middel.

### **Waarom is Helixate NexGen goedgekeurd?**

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Helixate NexGen groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van dit middel. Het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat Helixate NexGen werkzaam is gebleken wat betreft het voorkomen en behandelen van bloedingsepisodes bij patiënten met ernstige hemofilie A en dat het een aanvaardbaar veiligheidsprofiel heeft.

### **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Helixate NexGen te waarborgen?**

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

### **Overige informatie over Helixate NexGen**

De Europese Commissie heeft op 4 augustus 2000 een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Helixate NexGen verleend.

Het volledige EPAR voor Helixate NexGen 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). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Helixate NexGen.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 10-2017.