



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Helixate NexGen

oktokog alfa

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Helixate NexGen. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Helixate NexGen naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Helixate NexGen in za kaj se uporablja?

Helixate NexGen je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje in preprečevanje krvavenja pri bolnikih vseh starosti s hemofilijo A (dedno motnja strjevanja krvi, ki jo povzroča pomanjkanje faktorja VIII). Zdravilo Helixate NexGen vsebuje zdravilno učinkovino oktokog alfa (humani koagulacijski faktor VIII).

Kako se zdravilo Helixate NexGen uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Helixate NexGen je le na recept, zdravljenje pa mora uvesti zdravnik z izkušnjami z zdravljenjem hemofilije.

Zdravilo Helixate NexGen je na voljo v obliki praška in vehikla za pripravo raztopine za injiciranje ali infundiranje (kapalne infuzije) v veno. Odmerek in pogostnost injiciranja sta odvisna od tega, ali se zdravilo uporablja za zdravljenje ali preprečevanje krvavitve, kakor tudi od bolnikovih ravni faktorja VIII, resnosti hemofilije, obsega in mesta krvavitve ter bolnikovega stanja in telesne mase. Odmerek bo morda treba prilagoditi, če se zdravilo Helixate NexGen daje z neprekinjenim infundiranjem v veno. Zdravilo Helixate NexGen je namenjeno za kratkotrajno ali dolgotrajno uporabo.

Bolniki ali njihovi negovalci lahko po ustreznem usposabljanju zdravilo Helixate NexGen dajejo sami doma. Za celotne informacije glejte navodilo za uporabo.



Kako zdravilo Helixate NexGen deluje?

Zdravilna učinkovina zdravila Helixate NexGen, oktokog alfa (humani koagulacijski faktor VIII), je snov, ki pomaga pri strjevanju krvi. Bolnikom s hemofilijo A primanjkuje faktorja VIII, kar povzroča težave s strjevanjem krvi, kot so krvavenje v sklepe, mišice in notranje organe. Zdravilo Helixate NexGen se uporablja za odpravo pomanjkanja faktorja VIII z nadomeščanjem manjkajočega faktorja VIII, kar zagotovi začasno obvladovanje motnje strjevanja krvi.

Oktokog alfa se proizvaja z metodo, imenovano „tehnologija rekombinantne DNK“, pri kateri ga izdelajo celice, ki so prejele gen (DNK), kar jim omogoča njegovo tvorjenje.

Kakšne koristi je zdravilo Helixate NexGen izkazalo v študijah?

Zdravilo Helixate NexGen je podobno drugemu zdravilu, ki je že odobreno v EU, imenovanemu Helixate, vendar je pripravljeno na drugačen način, tako da v zdravilu ni nobenih beljakovin humanega izvora. Zato so zdravilo Helixate NexGen primerjali z zdravilom Helixate, da bi pokazali, da sta enakovredni.

Zdravilo Helixate NexGen, dano z injiciranjem v veno, je bilo proučevano pri 66 bolnikih, ki so bili predhodno zdravljeni z rekombinantnim humanim koagulacijskim faktorjem VIII ter pri 61 predhodno nezdravljenih otrocih. Glavno merilo učinkovitosti je bilo število potrebnih zdravljenj za zaustavitev vsake posamezne krvavitve. Pri predhodno zdravljenih bolnikih se je 95 % krvavitev odzvalo na eno ali dve injiciranji zdravila Helixate NexGen v veno. Pri predhodno nezdravljenih bolnikih se je 90 % krvavitev odzvalo na zdravljenje z eno ali dvema injiciranjema v veno.

Zdravilo Helixate NexGen v obliki neprekinjene infuzije je bilo proučevano tudi pri 15 bolnikih s hemofilijo A, ki so prestali zahtevnejši kirurški poseg. Glavno merilo učinkovitosti je bila zdravnikova ocena, kako dobro je bilo krvavenje zaustavljeno. Prenehanje krvavenja je bilo pri vseh 15 bolnikih ocenjeno kot odlično.

Pri nekaterih bolnikih se lahko pojavijo zaviralci faktorja VIII, tj. protitelesa (beljakovine), ki jih imunski sistem proizvede proti faktorju VIII in lahko izničijo delovanje zdravila in tako povzročijo izgubo nadzora nad krvavitvijo. Proučevali so, ali je zdravilo Helixate NexGen, dano v velikih odmerkih, učinkovito pri odstranjevanju protiteles proti faktorju VIII iz krvi (postopek, znan kot indukcija imunske tolerance), tako da zdravljenje s faktorjem VIII ostane učinkovito. Podatki, dobljeni o indukciji imunske tolerance pri bolnikih z zaviralci, so pokazali, da nekaterim bolnikom koristijo visoki odmerki in se zaviralci odstranijo, vendar pa so bili podatki ocenjeni kot nezadostni, da bi lahko zdravilo odobrili za to uporabo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Helixate NexGen?

Pri uporabi zdravil, ki vsebujejo faktor VIII, so poročali o preobčutljivostnih (alergijskih) reakcijah, ki so lahko v nekaterih premerih hude. Preobčutljivostne reakcije, povezane s kožo (srbenje, koprivnica in izpuščaji), se pojavijo pogosto (pri med 1 in 10 bolnikih od 100), toda hude alergijske reakcije so redke (pri med 1 in 10 bolnikih od 10 000).

Pri zdravilih s faktorjem VIII obstaja tudi tveganje, da se bodo pri nekaterih bolnikih pojavili zaviralci (protitelesa) faktorja VIII, ki bodo izničili delovanje zdravila ter tako povzročili izgubo nadzora nad krvavitvijo. V takem primeru se je treba obrniti na specializirani center za hemofilijo.

Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Helixate NexGen, glejte navodilo za uporabo. Zdravila Helixate NexGen ne smejo uporabljati osebe, ki so preobčutljive za

(alergične na) humani koagulacijski faktor VIII, mišje ali hrčkove beljakovine ali katero koli drugo sestavino zdravila.

Zakaj je bilo zdravilo Helixate NexGen odobreno?

Agencija je sklenila, da so koristi zdravila Helixate NexGen večje od z njim povezanih tveganj, in priporočila, da se zanj izda dovoljenje za promet. Zaključila je, da se je zdravilo Helixate NexGen izkazalo kot učinkovito pri zdravljenju in preprečevanju krvavitev pri bolnikih s hemofilijo A in da ima sprejemljiv varnostni profil.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Helixate NexGen?

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Helixate NexGen upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Helixate NexGen

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Helixate NexGen veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 4. avgusta 2000.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Helixate NexGen je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Helixate NexGen preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 10-2017.