



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/162298/2019
EMA/H/C/004406

Hemlibra (*emicizumab*)

A Hemlibra-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Hemlibra és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Hemlibra a hemofília A-ban (a VIII-as faktor hiánya miatti örökletes vérzészavarban) szenvedő betegeknek a vérzés megelőzésére és csökkentésére alkalmazott gyógyszer.

Olyan betegeknek alkalmazzák, akik szervezetében VIII-as faktor inhibitorok, azaz olyan ellenanyagok termelődnek a vérben, amelyek a VIII-as faktor készítmények ellen hatnak, és megakadályozzák azok megfelelő működését. Súlyos hemofília-A esetén a gyógyszert olyan betegeknek is alkalmazzák, akiknek a szervezetében nem termelődnek VIII-as faktor inhibitorok.

A Hemlibra hatóanyaga az emicizumab.

Hogyan kell alkalmazni a Hemlibra-t?

A Hemlibra csak receptre kapható, és a kezelést a hemofília, illetve a vérzészavarok kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie.

A Hemlibra a has, a comb vagy a felkar bőre alá adandó oldatos injekció formájában kapható. Megfelelő betanítást követően a betegek vagy gondozóik otthon, maguk is beadhatják a Hemlibra-injekciót. Karba az injekciót kizárólag gondozó vagy egészségügyi szakember adhatja be.

A Hemlibra-kezelés megkezdését megelőző napon a betegeknek abba kell hagyniuk a „bypassing” aktivitású készítmények (a VIII-as faktor inhibitorokkal rendelkező betegeknek a vérzés megelőzésére alkalmazott gyógyszerek, például az aktivált protrombinkomplex-koncentrátum vagy a rekombináns VIIa faktor) szedését.

A Hemlibra adagja a beteg testtömegétől függ. Az ajánlott adag az első 4 hétben hetente egyszer 3 mg/testtömegkilogramm. Ezt követően a kezelés hetente egyszer 1,5 mg/kg, kéthetente 3 mg/kg, vagy négyhetente 6 mg/kg adaggal folytatható. A Hemlibra-t hosszú távú alkalmazásra szánták.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



A Hemlibra alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Hogyan fejt ki hatását a Hemlibra?

A hemofília A-ban szenvedő betegek szervezetéből hiányzik a véralvadást elősegítő VIII-as faktor. A Hemlibra hatóanyaga, az emicizumab egy monoklonális antitest, amelyet úgy alakítottak ki, hogy elvégezze azt a feladatot, amelyet a VIII-as faktor végez — egymáshoz illeszt két véralvadási faktort (IXa és X) a véralvadáshoz szükséges láncreakció részeként.

Mivel az emicizumab szerkezete különbözik a VIII-as faktortól, a VIII-as faktor inhibitorok nincsenek rá hatással.

Milyen előnyei voltak a Hemlibra alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy, 109 beteg részvételével végzett vizsgálatban a Hemlibra hatásosnak bizonyult a vérzés megelőzésében különböző súlyosságú hemofília A-ban szenvedő, VIII-as faktor inhibitorokkal rendelkező betegeknél. A megelőzés céljából Hemlibra-val kezelt betegeknél kevesebbszer jelentkezett olyan vérzés, amelyet kezelni kellett (évente 3-szor), mint azoknál a betegeknél, akik nem részesültek megelőző kezelésben (évente 23-szor).

A vizsgálatba olyan betegeket is bevontak, akiknél már folyamatban volt a „bypassing” aktivitású készítményekként ismert gyógyszerekkel végzett megelőző kezelés. Amikor ezeket a betegeket átállították Hemlibra-ra, az egy betegre eső kezelt vérzések száma az átállítás előtti évi körülbelül 16 vérzésről évi körülbelül 3 vérzésre csökkent. A Hemlibra-val kezelt betegek életminősége szintén jobb volt, mint azoké, akik nem részesültek Hemlibra-kezelésben.

Egy, 152 beteg részvételével végzett vizsgálatban a Hemlibra szintén hatásosnak bizonyult a vérzés megelőzésében a súlyos hemofília A-ban szenvedő, VIII-as faktor inhibitorokkal nem rendelkező betegeknél. A megelőzés céljából Hemlibra-val kezelt betegeknél évente körülbelül egyszer jelentkezett olyan vérzés, amelyet kezelni kellett, szemben a megelőző kezelésben nem részesült betegeknél megfigyelt évi 38 vérzéssel.

Milyen kockázatokkal jár a Hemlibra alkalmazása?

A Hemlibra leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül 1-nél vagy többenél jelentkezhet) az injekció beadásának helyén fellépő bőrvörösség, viszketés vagy fájdalom, a fejfájás és az ízületi fájdalom.

A legsúlyosabb mellékhatás a trombotikus mikroangiopátia (vérrögök a kiserekben, amely 100 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet). Rendellenes véralvadás, amely 1000-ból 1-10 beteget érinthet, szintén előfordulhat és sinus cavernosus trombózissal (vérröggépződés az agyalapon), illetve felületes vénás trombózissal (vérröggépződés a bőr alatti vénákban, általában a karokban vagy a lábokban) jelentkezhet bőrsérülés mellett.

A Hemlibra alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Hemlibra forgalomba hozatalát az EU-ban?

Csak néhány gyógyszer, név szerint a „bypassing” aktivitású készítmények alkalmasak a VIII-as faktor inhibitorokkal rendelkező hemofília A-ban szenvedő betegek kezelésére. A Hemlibra csökkenti a vérzéses epizódok gyakoriságát ezeknél a betegeknél, és javítja az életminőségüket.

A Hemlibra a VIII-as faktor inhibitorokkal nem rendelkező, súlyos hemofília-A-ban szenvedő betegeknek is csökkenti a vérzést.

A Hemlibra mellékhatásai tolerálhatóak, és a súlyos mellékhatások kockázatának mérsékléséről szóló tájékoztatás megtalálható a gyógyszerfelírási tájékoztatóban és az oktatóanyagokban.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Hemlibra alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Hemlibra biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Hemlibra-t forgalmazó vállalat oktatóanyagokat fog az egészségügyi szakemberek, a betegek, a gondozók és a laboratóriumi szakemberek rendelkezésére bocsátani a rendellenes véralvadással kapcsolatos mellékhatásokra, a Hemlibra és a „bypassing” aktivitású készítmények egyidejű alkalmazásának kockázatára, illetve arra vonatkozóan, hogy hogyan kell ezeknek a betegeknek a laboratóriumi vizsgálatait elvégezni. Az anyag tartalmazni fogja a kísérőiratokat, az útmutatókat, valamint egy betegfigyelmeztető kártyát.

A Hemlibra biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Hemlibra alkalmazásával kapcsolatos információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Hemlibra alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Hemlibra-val kapcsolatos egyéb információ

2018. február 23-án a Hemlibra az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Hemlibra-ra vonatkozó további információ az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemlibra.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 03-2019.