



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/196132/2016
EMA/H/C/003955

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Idelvion

albutrepenonakog-alfa

Ez a dokumentum az Idelvion-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak az Idelvion alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben az Idelvion alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer az Idelvion és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Idelvion egy, a IX-es faktornak nevezett véralvadási fehérje hiánya miatt kialakuló, örökletes vérszavarban, hemofília B-ben szenvedő betegeknek fellépő vérzés megelőzésére és kezelésére alkalmazott gyógyszer. Bármilyen korú betegeknek alkalmazható.

Mivel a hemofília B-ben szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért az Idelvion-t 2010. február 4-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

Az Idelvion hatóanyaga az albutrepenonakog-alfa.

Hogyan kell alkalmazni az Idelvion-t?

Az Idelvion csak receptre kapható, és a terápiát a hemofília kezelésében jártas orvosnak kell felügyelnie.

Az Idelvion por és oldószer formájában kapható, amelyeket összekeverve vénás oldatos injekciót kapunk. Az injekciók dózisa és gyakorisága a beteg testtömegétől, valamint attól függ, hogy az Idelvion-t a vérzés kezelésére vagy megelőzésére alkalmazzák-e, illetve függ a IX-es faktor hiány



súlyosságától, a vérzés mértékétől és elhelyezkedésétől, valamint a beteg életkorától és egészségi állapotától. A gyógyszer alkalmazásával kapcsolatos további információk a (szintén az EPAR részét képező) alkalmazási előírásban található.

Hogyan fejt ki hatását az Idelvion?

A hemofília B-ben szenvedő betegeknél hiányzik a normális véralvadáshoz szükséges egyik fehérje, a IX-es faktor, ennek következtében pedig könnyen véreznek. Az Idelvion hatóanyaga, az albutrepenonakog-alfa ugyanúgy fejt ki hatását a szervezetben, mint a humán IX-es faktor. Pótolja a hiányzó IX-es faktort, ezáltal elősegíti a véralvadást, és biztosítja a vérzés ideiglenes kontrollját.

Milyen előnyei voltak az Idelvion alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy 80 felnőttel és serdülővel végzett vizsgálatban és egy másik, 27, 12 évesnél fiatalabb gyermekkel végzett vizsgálatban az Idelvion hatásos volt a vérzés megelőzésében, a legtöbb betegnél nem jelentkezett vérzés a megelőző kezelés idején. Továbbá az Idelvion hatásos volt a vérzéses epizódok kezelésében, ha azok mégis előfordultak; a vérzéses epizódok körülbelül 93%-a egyetlen Idelvion injekcióra megszűnt.

Milyen kockázatokkal jár az Idelvion alkalmazása?

Az Idelvion alkalmazása során ritkán túlérzékenységi (allergiás) reakciók alakulhatnak ki, amelyek a következőket foglalják magukba: duzzanat, égő és szúró érzés az injekció beadási helyén, hidegrázás, kipirulás, viszkető bőrkiütés, fejfájás, csalánkiütés, alacsony vérnyomás, letargia, émelygés és hányás, nyugtalanság, gyors szívverés, mellkasi szorítás és sípolás. Egyes esetekben ezek a reakciók súlyossá válhatnak.

Egyes, IX-es faktor készítményeket szedő betegeknél inhibitorok (antitestek) alakulhatnak ki a IX-es faktor ellen, ami a gyógyszer hatástalanságát és a vérzés kontrolljának elvesztését eredményezi. A IX-es faktor gyógyszerek továbbá a vérerekben vérrögök kialakulása miatt is okozhatnak problémákat. Az Idelvion alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Idelvion nem alkalmazható olyan betegeknél, akik túlérzékenyek (allergiásak) a hatóanyaggal vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben. Hörcsögfehérjékre allergiás betegeknél sem alkalmazható.

Miért engedélyezték az Idelvion forgalomba hozatalát?

A vizsgálatok azt mutatják, hogy az Idelvion hatékony a vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében a hemofília B-ben szenvedő betegeknél, és biztonságossága összehasonlítható az egyéb IX-es faktor készítményekével. Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy az Idelvion alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Idelvion biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Idelvion lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján az Idelvion-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

Az Idelvion-nal kapcsolatos egyéb információ

Az Idelvion-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben az Idelvion-nal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Idelvion-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare%20disease%20designation).