



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/465284/2015  
EMEA/H/C/000704

## EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

---

# Increlex

mecaszermín

Ez a dokumentum az Increlex-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az Increlex alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

## Milyen típusú gyógyszer az Increlex?

Az Increlex oldatos injekció, amely hatóanyagként mecaszermint tartalmaz.

## Milyen betegségek esetén alkalmazható az Increlex?

Az Increlex-et olyan 2 és 18 év közötti betegek hosszú távú kezelésére alkalmazzák, akik „súlyos primer inzulinszerű növekedési faktor -1 hiány” miatt a korukhoz képest alacsonyak. Az ezzel a problémával küzdő betegeknek a normális növekedéshez szükséges inzulinszerű növekedési faktor -1 vagy IGF-1 hormonszintje alacsony.

Mivel a primer IGF-1 hiányban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért az Increlex-et 2006. május 22-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A gyógyszer csak receptre kapható.

## Hogyan kell alkalmazni az Increlex-et?

Az Increlex-kezelést a növekedési zavarban szenvedő betegek diagnosztizálásában és kezelésében jártas orvosnak kell felügyelnie.

Az ajánlott kezdő adag testtömeg kilogrammonként 0,04 mg naponta kétszer. Az adagolást minden betegnél a növekedési sebességnek és a mellékhatásoknak megfelelően, egyénileg kell beállítani. A maximális dózis testtömeg kilogrammonként 0,12 mg naponta kétszer. Az Increlex-et bőr alá adott injekcióban alkalmazzák, és minden egyes injekciót más helyre kell beadni. Soha nem szabad vénába



adni. Az injekciót röviddel étkezés előtt vagy után kell beadni. Ha a beteg valamilyen ok miatt nem tud enni, akkor a kezelést meg kell szakítani. További információkat lásd az alkalmazási előírásban.

## **Hogyan fejti ki hatását az Increlex?**

Az Increlex hatóanyaga, a mecaszermin, az IGF-1 hormon másolata. Az IGF-1 nagyon fontos szerepet játszik abban, hogy egy gyermek milyen testmagasságot fog elérni. Hatását a sejtek osztódásának és növekedésének, valamint a testszövetek növekedését támogató tápanyagok felszívódásának serkentésével fejti ki. Az Increlex ugyanúgy fejti ki a hatását, mint a természetes IGF-1, pótolja a hiányzó hormont és hozzájárul ahhoz, hogy a gyermek magasabbra nőjön.

## **Milyen módszerekkel vizsgálták az Increlex-et?**

Az Increlex-et öt vizsgálatban tanulmányozták, amelyekben összesen 76 súlyos primer IGF-1 hiányban szenvedő, 1 és 15 év közötti gyermek vett részt, akik közül kilencen már kaptak egy másik típusú rekombináns IGF-1 hormont azt megelőzően, hogy csatlakoztak ezekhez a vizsgálatokhoz. Mivel ez egy ritka betegség, több gyermek egynél több vizsgálatban is részt vett. Az egyik vizsgálatban az Increlex-et nyolc beteg esetében placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze, míg a többiben semmilyen más kezeléshez nem hasonlították. A vizsgálatok 15 hónap és 8 év közötti ideig tartottak, a hatásosság fő mértéke pedig a növekedés sebessége volt.

## **Milyen előnyei voltak az Increlex alkalmazásának a vizsgálatok során?**

Az Increlex növelte a növekedés sebességét. A vizsgálatok eredményeit együtt véve a növekedés átlagos sebessége a kezelést megelőzően 2,8 cm/év volt. Ez a kezelés első évében 8,0 cm-re, a másodikban pedig 5,8 cm-re nőtt. A kezelés negyedik évétől kezdődően a növekedési sebesség 4,7 cm/év körül stabilizálódott.

Néhány vizsgálatban növekedési hormon génhibában szenvedő gyermekek is részt vettek, és olyanok is, akiknek a szervezete növekedési hormon elleni antitesteket termelt. A vállalat kérelmet nyújtott be az Increlex ilyen gyermekeknél történő alkalmazására is, de kérelmét a készítmény értékelésének befejezése előtt visszavonta, mert ez a betegség nem szerepel a „ritka betegség gyógyszere” alatti meghatározásban.

## **Milyen kockázatokkal jár az Increlex alkalmazása?**

Az Increlex leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkeznek) a fejfájás, hipoglikémia (alacsony vércukorszint), hányás (rosszullét), hipertrófia az injekció helyén (dudorok az injekció beadásának helyén) és otitisz média (a középfül fertőzése).

Nem adható olyan betegeknek sem, akik aktív neopláziában (a sejtek rendellenes növekedésében) szenvednek, vagy vélhetően abban szenvednek. Ha neoplázia alakul ki, akkor a Increlex-kezelést abba kell hagyni. A gyógyszer koraszülötteknek vagy újszülötteknek nem adható. Az Increlex alkalmazásával kapcsolatos összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegájékoztatóban található.

## **Miért engedélyezték az Increlex forgalomba hozatalát?**

A CHMP megállapította, hogy az Increlex alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Az Increlex forgalomba hozatalát „kivételes körülmények között” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy mivel a betegség ritka, nem lehetett teljes körű információt gyűjteni az Increlex-ről. Az Európai

Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál majd minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

## **Milyen információk várhatók még az Increlex-szel kapcsolatban?**

Az Increlex-et gyártó vállalat a gyógyszer biztonságosságára irányuló hosszú távú vizsgálatot fog végezni a kezelés kora gyermekkorban történő megkezdésétől egészen a felnőttkorig való alkalmazással kapcsolatban.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban az Increlex biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

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

Az Increlex-et gyártó vállalat egy tájékoztató csomagot fog küldeni az orvosoknak és a betegeknek, melyben le van írva, hogyan kell a gyógyszert alkalmazni, és hogy milyen mellékhatásai vannak. A vállalat egy dóziskalkulátort is biztosít, hogy segítsen az orvosoknak és a betegeknek (vagy gondozóiknak) a megfelelő adag kiszámításában.

## **Az Increlex-szel kapcsolatos egyéb információ:**

2007. augusztus 3-án az Európai Bizottság az Increlex-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

Az Increlex-re 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_medicines/European_public_assessment_reports). Amennyiben az Increlex-szel 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 Increlex-re 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_disease_designation).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 05-2015.