



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/76094/2014
EMA/H/C/002284

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

NovoThirteen

catridecacogum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek NovoThirteen. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek pro používání přípravku NovoThirteen.

Co je NovoThirteen?

NovoThirteen je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku katridekakog. Je k dispozici ve formě prášku a rozpouštědla k přípravě injekčního roztoku.

K čemu se přípravek NovoThirteen používá?

Přípravek NovoThirteen se používá k dlouhodobé prevenci krvácení u pacientů s vrozeným nedostatkem podjednotky A faktoru XIII, což je dědičná porucha srážlivosti krve projevující se krvácivými příhodami.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Jak se přípravek NovoThirteen používá?

Léčba přípravkem NovoThirteen by měla být zahájena pod dohledem lékaře se zkušenostmi s léčbou vzácných krvácivých poruch. Před zahájením léčby je nutno onemocnění potvrdit vhodnými testy.

Doporučená dávka přípravku je 35 mezinárodních jednotek (IU) na kilogram tělesné hmotnosti jednou měsíčně. Dávka se podává v jedné pomalé injekci do žíly. V určitých situacích může lékař na základě hladiny faktoru XIII v krvi pacienta rozhodnout o úpravě dávky potřebné k prevenci krvácení.

Jak přípravek NovoThirteen působí?

Faktor XIII je bílkovina zapojená do procesu srážení krve. Specifická složka faktoru XIII, zvaná podjednotka A, se podílí na stabilizaci krevních sraženin a zvýšení jejich pevnosti. Pacienti s vrozeným



nedostatkem podjednotky A faktoru XIII nemají dostatečné množství podjednotky A faktoru XIII nebo tato podjednotka správně nefunguje, v důsledku čehož jsou náchylní ke krvácení. Léčivá látka v přípravku NovoThirteen, katridekakog, má stejnou strukturu jako lidská podjednotka A faktoru XIII. Přípravek NovoThirteen působí tak, že tělu dodává podjednotku A faktoru XIII, která pomáhá u těchto pacientů předcházet krvácení. U pacientů s nedostatkem podjednotky B faktoru XIII není přípravek NovoThirteen účinný.

Podjednotka A faktoru XIII v přípravku NovoThirteen se vyrábí metodou označovanou jako „technologie rekombinantní DNA“: je vytvářena kvasinkovými buňkami, do kterých byl vložen gen (DNA), díky němuž jsou schopny produkovat tuto podjednotku.

Jak byl přípravek NovoThirteen zkoumán?

Přípravek NovoThirteen byl zkoumán v hlavní studii zahrnující 41 dospělých a dětí ve věku nad 6 let s vrozeným nedostatkem podjednotky A faktoru XIII, kteří byli dříve léčeni léčivými přípravky obsahujícími faktor XIII. Pacientům byl přípravek NovoThirteen podáván z preventivních důvodů po dobu jednoho roku. V rámci studie byl sledován počet krvácivých příhod vyžadujících léčbu léčivým přípravkem obsahujícím faktor XIII u těchto pacientů v porovnání s pacienty, kterým přípravek NovoThirteen podáván nebyl, a to na základě dřívějších údajů o 16 pacientech s vrozeným nedostatkem podjednotky A faktoru XIII. U 33 pacientů byla studie o jeden rok prodloužena za účelem sledování dlouhodobé bezpečnosti léčby přípravkem NovoThirteen.

Bezpečnost a účinnost přípravku NovoThirteen u dětí ve věku do 6 let byla podpořena předběžnými údaji z probíhající dlouhodobé studie, v jejímž rámci byl pacientům přípravek NovoThirteen podáván za účelem prevence krvácivých příhod.

Jaký přínos přípravku NovoThirteen byl prokázán v průběhu studií?

U pacientů, kterým byl přípravek NovoThirteen podáván preventivně, byla zjištěna nižší četnost krvácivých příhod, než kterou uváděly dřívější údaje pacientů léčených symptomaticky (v případě potřeby) jiným léčivým přípravkem obsahujícím faktor XIII. V průměru docházelo u pacientů preventivně léčených přípravkem NovoThirteen přibližně k 0,15 krvácivé epizody vyžadující léčbu faktorem XIII ročně oproti přibližně 2,9 příhody ročně u pacientů léčených symptomaticky jiným léčivým přípravkem obsahujícím faktor XIII.

V průběhu dlouhodobé studie nebyly u dětí ve věku do 6 let léčených přípravkem NovoThirteen pozorovány žádné krvácivé příhody.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem NovoThirteen?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku NovoThirteen (zaznamenanými u 1 až 10 pacientů ze 100) jsou bolest hlavy, leukopenie (nízký počet bílých krvinek), zhoršená neutropenie (nízké hladiny neutrofilů, což je druh bílých krvinek), bolesti končetin, bolest v místě vpichu a v krvi byla zjištěna přítomnost protilátek, které se navazují na faktor XIII, a rovněž malých fragmentů proteinu zvaného fibrinový D-dimer.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek NovoThirteen schválen?

Výbor CHMP dospěl k závěru, že hlavní studie přinesla ohledně účinnosti uspokojivé výsledky, protože během léčby přípravkem NovoThirteen nedošlo k žádnému závažnému ani život ohrožujícímu krvácení. Kromě toho nebyly zaznamenány žádné závažné nežádoucí účinky ani při dlouhodobém používání

tohoto přípravku. Výbor CHMP rozhodl, že přínosy přípravku NovoThirteen převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku NovoThirteen?

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku NovoThirteen byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku NovoThirteen zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci a pacienti.

Společnost, která přípravek NovoThirteen dodává na trh, navíc poskytne všem lékařům, u nichž se předpokládá, že budou tento přípravek předepisovat, informační balíček určený pro lékaře i pacienty, který bude obsahovat důležitá poučení o správném používání přípravku. Jeho součástí budou informace o uchovávání přípravku, protože při nesprávném uchovávání připraveného roztoku může dojít ke zvýšení koncentrace aktivovaného přípravku NovoThirteen, a tím i k vyššímu riziku trombózy (tvorby krevních sraženin v cévách), a podrobnosti o postupu podávání přípravku, protože v přípravku NovoThirteen je koncentrace faktoru XIII jiná než v ostatních léčivých přípravcích obsahujících tento faktor.

Další informace jsou uvedeny ve shrnutí plánu řízení rizik.

Další informace o přípravku NovoThirteen

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku NovoThirteen platné v celé Evropské unii dne 3. září 2012.

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek NovoThirteen je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Další informace o léčbě přípravkem NovoThirteen naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 02-2014.