



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR - sammendrag for offentligheden

NovoThirteen

catridecacog

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for NovoThirteen. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om, hvordan NovoThirteen skal anvendes.

Hvad er NovoThirteen?

NovoThirteen er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof catridecacog. Det fås som et pulver, der opløses i den medfølgende væske og derefter gives som injektion.

Hvad anvendes NovoThirteen til?

NovoThirteen anvendes til forebyggende langtidsbehandling af blødning hos patienter med medfødt mangel på faktor XIII A-subunit. Sygdommen er en arvelig forstyrrelse i blodets størkning og er kendetegnet ved blødningsepisoder.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Hvordan anvendes NovoThirteen?

Behandling med NovoThirteen bør indledes af en læge med erfaring i behandling af sjældne blødningsforstyrrelser. Sygdommen skal være bekræftet gennem passende prøver, før behandlingen påbegyndes.

Den anbefalede dosis er 35 internationale enheder (IE) pr. kg legemsvægt én gang om måneden. Denne dosis gives som en enkelt langsom injektion i en vene. I visse situationer kan lægen vælge at tilpasse den blødningsforebyggende dosis ud fra blodets indhold af faktor XIII.



Hvordan virker NovoThirteen?

Faktor XIII er et protein, der medvirker ved blodets størkning. En særlig komponent i faktor XIII er den såkaldte A-subunit, der stabiliserer og styrker blodklumper. Patienter med medfødt mangel på faktor XIII A-subunit har enten for lidt faktor XIII A-subunit, eller også virker denne ikke korrekt, hvilket medfører blødninger. Det aktive stof i NovoThirteen, catridecacog, har samme opbygning som den naturlige faktor XIII A-subunit. NovoThirteen virker ved at tilføre faktor XIII A-subunit, hvilket har forebyggende virkning mod blødning. NovoThirteen virker ikke, hvis patienten mangler faktor XIII B-subunit.

Faktor XIII A-subunit i NovoThirteen fremstilles ved "rekombinant dna-teknologi". Det produceres af gærceller, der har fået indsat et gen (dna), som gør dem i stand til at producere stoffet.

Hvordan blev NovoThirteen undersøgt?

NovoThirteen blev undersøgt i én hovedundersøgelse af 41 voksne og børn over seks år med medfødt mangel på faktor XIII A-subunit. Disse var tidligere blevet behandlet med lægemidler indeholdende faktor XIII. Patienterne fik NovoThirteen i ét år som forebyggende behandling. I undersøgelsen registreredes antallet af blødningsepisoder, der gjorde det nødvendigt at anvende et faktor XIII-holdigt lægemiddel til disse patienter. Dette antal blev sammenholdt med tidligere oplysninger om 16 patienter, der havde medfødt mangel på faktor XIII A-subunit, men ikke havde fået NovoThirteen. Undersøgelsen blev forlænget med et år for 33 af patienterne for at fastlægge den langsigtede sikkerhed af behandlingen med NovoThirteen.

NovoThirteens sikkerhed og virkning hos børn under seks år blev understøttet af foreløbige data fra en løbende langtidsundersøgelse, hvor patienterne fik NovoThirteen til forebyggelse af blødningsepisoder.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved NovoThirteen?

Antallet af blødningsepisoder hos de patienter, der fik NovoThirteen som forebyggende behandling, var lavere end hos de tidligere registrerede patienter, der var behandlet efter behov med et andet lægemiddel indeholdende faktor XIII. Hos de patienter, som fik forebyggende behandling med NovoThirteen, forekom der pr. år pr. patient gennemsnitligt ca. 0,15 blødningsepisoder, der gjorde det nødvendigt at behandle med faktor XIII. Til sammenligning forekom der ca. 2,9 episoder pr. år pr. patient, som blev behandlet efter behov med et andet lægemiddel indeholdende faktor XIII.

I langtidsundersøgelsen blev der ikke observeret nogen blødningsepisoder hos børn under seks år behandlet med NovoThirteen.

Hvilken risiko er der forbundet med NovoThirteen?

De hyppigste bivirkninger ved NovoThirteen (som optræder hos mellem 1 og 10 ud af 100 patienter) er hovedpine, leukopeni (lavt antal hvide blodlegemer), forstærket neutropeni (lavt antal hvide blodlegemer af typen neutrofile), smerter i arme og ben samt smerter på injektionsstedet. Desuden kan der i blodet forekomme antistoffer mod faktor XIII samt "fibrin D-dimer", der er små proteinbrudstykker.

Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger og begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev NovoThirteen godkendt?

CHMP konkluderede, at hovedundersøgelsens resultater var tilfredsstillende hvad angår lægemidlets virkning, da der ikke forekom svære eller livstruende blødninger under behandlingen med

NovoThirteen. Desuden blev der ikke iagttaget væsentlige bivirkninger ved langsigtet brug af NovoThirteen. CHMP besluttede, at fordelene ved NovoThirteen opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af en markedsføringstilladelse for NovoThirteen.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af NovoThirteen?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at NovoThirteen anvendes så sikkert som muligt. På baggrund af denne er der anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for NovoThirteen, herunder passende forholdsregler, som patienter og sundhedspersonale skal følge.

Den virksomhed, der markedsfører NovoThirteen, skal desuden udlevere en informationspakke til patienterne og til alle læger, der forventes at udskrive lægemidlet. Pakken skal indeholde en række vigtige oplysninger om korrekt anvendelse af lægemidlet. Oplysningerne skal omfatte opbevaringsanvisninger, da ukorrekt opbevaring efter opløsning af pulveret kan medføre højere koncentrationer af aktiveret NovoThirteen og dermed øget risiko for trombose (dannelse af blodpropper i blodkarrene). Derudover skal de omfatte anvisninger for indgivelse, da koncentrationen af faktor XIII i NovoThirteen er anderledes end i andre lægemidler, der indeholder faktor XIII.

Yderligere oplysninger fremgår af resuméet af risikostyringsplanen.

Andre oplysninger om NovoThirteen

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for NovoThirteen den 3. september 2012.

Den fuldstændige EPAR for NovoThirteen findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med NovoThirteen, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 02-2014.