



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

NovoThirteen

κατριδεκακόγη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του NovoThirteen. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του φαρμάκου NovoThirteen.

Τι είναι το NovoThirteen;

Το NovoThirteen είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία κατριδεκακόγη. Διατίθεται σε μορφή σκόνης και διαλύτη για την παρασκευή ενέσιμου διαλύματος.

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το NovoThirteen;

Το NovoThirteen χρησιμοποιείται για τη μακροχρόνια πρόληψη αιμορραγίας σε ασθενείς που πάσχουν από την αποκαλούμενη «συγγενή ανεπάρκεια της υπομονάδας A του παράγοντα XIII». Πρόκειται για κληρονομική διαταραχή της πήξης του αίματος που χαρακτηρίζεται από αιμορραγικά επεισόδια.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πώς χρησιμοποιείται το NovoThirteen;

Η θεραπεία με NovoThirteen θα πρέπει να ξεκινά υπό την επίβλεψη ιατρού πεπειραμένου στη θεραπεία σπάνιων αιμορραγικών διαταραχών. Η πάθηση πρέπει να επιβεβαιώνεται με κατάλληλες εξετάσεις πριν από την έναρξη της θεραπείας.

Η συνιστώμενη δόση είναι 35 διεθνείς μονάδες (IU) ανά κιλό σωματικού βάρους μία φορά τον μήνα. Η δόση αυτή χορηγείται με μία μονή αργή ενδοφλέβια ένεση. Σε ορισμένες περιπτώσεις, βάσει των επιπέδων του παράγοντα XIII στο αίμα του ασθενούς, ο ιατρός μπορεί να αποφασίσει προσαρμογή της απαιτούμενης δόσης για την αποφυγή αιμορραγίας.



Πώς δρα το NovoThirteen;

Ο παράγοντας XIII είναι μια πρωτεΐνη που συμμετέχει στη διαδικασία της πήξης του αίματος. Ένα συγκεκριμένο συστατικό του παράγοντα XIII, η υπομονάδα A, συμμετέχει στη σταθεροποίηση των θρόμβων αίματος και στην αύξηση της αντοχής του θρόμβου. Οι ασθενείς με συγγενή ανεπάρκεια της υπομονάδας A του παράγοντα XIII δεν έχουν επαρκή ποσότητα της υπομονάδας A του παράγοντα XIII, ή η υπομονάδα A δεν λειτουργεί σωστά, με αποτέλεσμα οι ασθενείς να είναι επιρρεπείς σε αιμορραγίες. Η δραστική ουσία του NovoThirteen, η κατριδεκακόγη, έχει την ίδια δομή με την ανθρώπινη υπομονάδα A του παράγοντα XIII. Το NovoThirteen δρα παρέχοντας την υπομονάδα A του παράγοντα XIII, η οποία συμβάλλει στην αποφυγή της αιμορραγίας σε ασθενείς με τη συγκεκριμένη πάθηση. Το NovoThirteen δεν είναι αποτελεσματικό σε ασθενείς με ανεπάρκεια της υπομονάδας B του παράγοντα XIII.

Η υπομονάδα A του παράγοντα XIII που περιέχεται στο NovoThirteen παρασκευάζεται με μια μέθοδο γνωστή ως «τεχνολογία ανασυνδυασμένου DNA»: παράγεται από κύτταρα ζυμομύκητα στα οποία έχει ενσωματωθεί το γονίδιο (DNA) που τους επιτρέπει να την παράγουν.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το NovoThirteen;

Το NovoThirteen διερευνήθηκε σε μία βασική μελέτη στην οποία μετείχαν 41 ενήλικες και παιδιά ηλικίας 6 ετών και άνω με συγγενή ανεπάρκεια της υπομονάδας A του παράγοντα XIII και οι οποίοι στο παρελθόν είχαν υποβληθεί σε θεραπεία με φάρμακα που περιείχαν τον παράγοντα XIII. Στους ασθενείς χορηγήθηκε NovoThirteen επί ένα έτος για προληπτική χρήση. Η μελέτη εξέτασε τον αριθμό των αιμορραγικών επεισοδίων τα οποία έχρηζαν θεραπειών με φάρμακο που να περιέχει τον παράγοντα XIII στους εν λόγω ασθενείς, σε σύγκριση με ασθενείς στους οποίους δεν είχε χορηγηθεί NovoThirteen, βάσει παλαιότερων δεδομένων από 16 ασθενείς με συγγενή ανεπάρκεια της υπομονάδας A του παράγοντα XIII. Η μελέτη παρατάθηκε για ένα ακόμα έτος στους 33 εκ των ασθενών με σκοπό να εξεταστεί η μακροπρόθεσμη ασφάλεια της θεραπείας με NovoThirteen.

Προκαταρκτικά δεδομένα από μια εν εξελίξει μακροχρόνια μελέτη κατά τη διάρκεια της οποίας χορηγήθηκε σε ασθενείς NovoThirteen για την αποτροπή αιμορραγικών επεισοδίων συνηγορούν υπέρ της ασφάλειας και αποτελεσματικότητας του NovoThirteen σε παιδιά ηλικίας κάτω των 6 ετών.

Ποιο είναι το όφελος του NovoThirteen σύμφωνα με τις μελέτες;

Το ποσοστό αιμορραγικών επεισοδίων σε ασθενείς που λάμβαναν NovoThirteen προληπτικά ήταν μικρότερο από αυτό που είχε παρατηρηθεί στα παλαιότερα δεδομένα τα οποία βασίζονταν σε ασθενείς στους οποίους είχε χορηγηθεί ανάλογα με τις ανάγκες τους άλλο φάρμακο που περιείχε τον παράγοντα XIII. Κατά μέσο όρο, σημειώθηκαν περίπου 0,15 αιμορραγικά επεισόδια τα οποία έχρηζαν θεραπειών με τον παράγοντα XIII ανά έτος ανά ασθενή που λάμβανε προληπτικά NovoThirteen. Το αντίστοιχο ποσοστό για τους ασθενείς που είχαν υποβληθεί σε θεραπεία ανάλογα με τις ανάγκες τους με άλλο φάρμακο που περιείχε τον παράγοντα XIII ήταν περίπου 2,9 αιμορραγικά επεισόδια ανά έτος ανά ασθενή.

Κατά τη διάρκεια της μακροχρόνιας μελέτης, δεν παρατηρήθηκαν αιμορραγικά επεισόδια σε παιδιά ηλικίας κάτω των 6 ετών που ακολούθησαν θεραπεία με NovoThirteen.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το NovoThirteen;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του NovoThirteen (εμφανίζονται σε 1 έως 10 ασθενείς στους 100) είναι πονοκέφαλοι, λευκοπενία (χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων στο αίμα), επιδεινωθείσα ουδετεροπενία (χαμηλά επίπεδα ουδετερόφιλων, ενός τύπου λευκών αιμοσφαιρίων), πόνοι στα άκρα, πόνος στο σημείο της ένεσης, καθώς και παρουσία αντισωμάτων στο αίμα που προσκολλώνται στον παράγοντα XIII και μικρών θραυσμάτων πρωτεϊνών που ονομάζονται D διμερή του ινώδους.

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και περιορισμών περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το NovoThirteen;

Η CHMP κατέληξε στο συμπέρασμα ότι η βασική μελέτη παρείχε ικανοποιητικά αποτελέσματα όσον αφορά την αποτελεσματικότητα, καθώς δεν σημειώθηκαν σοβαρά ή απειλητικά για τη ζωή αιμορραγικά επεισόδια κατά τη θεραπεία με NovoThirteen. Επιπλέον, δεν παρατηρήθηκαν σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες που να σχετίζονται με τη μακροχρόνια χρήση του NovoThirteen. Η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του NovoThirteen υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του NovoThirteen;

Καταρτίστηκε σχέδιο διαχείρισης κινδύνου προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το NovoThirteen χρησιμοποιείται με τον ασφαλέστερο δυνατό τρόπο. Βάσει του σχεδίου αυτού, στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του NovoThirteen συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια καθώς και τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς.

Επιπλέον, η παρασκευάστρια εταιρεία του NovoThirteen θα παράσχει σε όλους τους γιατρούς που αναμένεται να συνταγογραφήσουν το φάρμακο ενημερωτικό φάκελο για γιατρούς και ασθενείς με σημαντικές πληροφορίες για την ορθή χρήση του φαρμάκου. Σε αυτές περιλαμβάνονται πληροφορίες για τις διαδικασίες φύλαξης, διότι η λανθασμένη φύλαξη μετά από την ανασύσταση μπορεί να προκαλέσει αύξηση των επιπέδων ενεργοποιημένου NovoThirteen και, κατά συνέπεια, αύξηση του κινδύνου εμφάνισης θρόμβωσης (σχηματισμός θρόμβων αίματος εντός των αιμοφόρων αγγείων), καθώς και πληροφορίες για τις διαδικασίες χορήγησης, δεδομένου ότι η συγκέντρωση του παράγοντα XIII στο NovoThirteen είναι διαφορετική από αυτήν άλλων φαρμάκων που περιέχουν παράγοντα XIII.

Περισσότερες πληροφορίες περιλαμβάνονται στην περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου.

Λοιπές πληροφορίες για το NovoThirteen

Στις 3 Σεπτεμβρίου 2012, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το NovoThirteen.

Η πλήρης EPAR του NovoThirteen διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το NovoThirteen, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 02-2014.