



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Julkinen EPAR-yhteenveto

---

# NovoThirteen

## katridekakogi

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee NovoThirteen-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltavaan lausuntoon myyntiluvan myöntämisestä sekä suosituksiin NovoThirteen-lääkevalmisteen käytön ehdoista.

### **Mitä NovoThirteen on?**

NovoThirteen on lääke, jonka vaikuttava aine on katridekakogi. Sitä on saatavana kuiva-aineena ja liuottimena, joista valmistetaan injektiolius.

### **Mihin NovoThirteen-valmistetta käytetään?**

NovoThirteeniä käytetään pitkäaikaiseen verenvuotojen ehkäisyyn potilailla, joilla on synnynnäinen hyytymistekijä XIII:n A-alayksikön puutos. Se on perinnöllinen verenhyytymishäiriö, jossa esiintyy verenvuotojaksoja.

Lääkevalmistetta saa vain lääkärin määräyksestä.

### **Miten NovoThirteen-valmistetta käytetään?**

NovoThirteen-hoito on aloitettava harvinaisiin verenvuotosairauksiin perehtyneen lääkärin valvonnassa. Sairaus on varmistettava sopivilla testeillä ennen hoidon aloittamista.

Suositusannos on 35 kansainvälistä yksikköä (IU:ta) painokiloa kohti kerran kuukaudessa. Annos annetaan yhtenä hitaana injektiona laskimoon. Tietyissä tilanteissa lääkäri voi päättää muuttaa verenvuodon ehkäisyyn tarvittavaa annosta potilaan veren tekijä XIII:n pitoisuuden perusteella.



## Miten NovoThirteen vaikuttaa?

Tekijä XIII on proteiini, joka osallistuu veren hyytymisprosessiin. Tietty tekijä XIII:n osa, jonka nimi on A-alayksikkö, on mukana verihyytymien stabiloinnissa ja hyytymän lujuuden lisäämisessä.

Synnynäistä tekijä XIII:n A-alayksikön puutosta sairastavien potilaiden veressä on liian vähän tekijä XIII:n A-alayksikköä tai se ei toimi kunnolla, mikä tekee potilaat alttiiksi verenvuodolle. NovoThirteenin vaikuttava aine, katridekakogi, on rakenteellisesti samanlainen kuin ihmisen tekijä XIII:n A-alayksikkö. NovoThirteen vaikuttaa tuomalla potilaan elimistöön tekijä XIII:n A-alayksikön, mikä auttaa ehkäisemään verenvuotoa näillä potilailla. NovoThirteen ei tehoa potilaisiin, joilta puuttuu tekijä XIII:n B-alayksikkö.

NovoThirteenin sisältämä tekijä XIII:n A-alayksikkö tuotetaan rekombinantti-DNA-tekniikka-nimisellä menetelmällä: sitä valmistavat hiivasolut, joissa on sen tuottamisen mahdollistava geeni (DNA).

## Miten NovoThirteen-valmistetta on tutkittu?

NovoThirteeniä tutkittiin päätutkimuksessa, johon osallistui 41 synnynäistä tekijä XIII:n A-alayksikön puutosta sairastavaa aikuista ja yli 6-vuotiasta lasta, joita oli hoidettu aiemmin tekijä XIII sisältävillä lääkkeillä. Näille potilaille annettiin NovoThirteen-valmistetta yhden vuoden ajan ehkäisevästi.

Tutkimuksessa tarkasteltiin verenvuotojaksojen määrää, joiden hoito edellytti tekijä XIII:a sisältävän lääkkeen antamista näille potilaille, joita verrattiin sellaisiin potilaisiin, jotka eivät olleet saaneet NovoThirteen-valmistetta; tutkimuksessa käytettiin aiempia tietoja 16 potilaasta, jotka sairastivat tekijä XIII:n A-alayksikön puutosta. Tutkimusta jatkettiin vuosi 33 potilaan osalta NovoThirteen-hoidon pitkäaikaisen turvallisuuden selvittämiseksi.

NovoThirteenin turvallisuutta ja tehoa alle 6-vuotiailla lapsilla tukivat ennakkotiedot meneillään olevasta pitkäaikaisesta tutkimuksesta, jonka aikana potilaille annettiin NovoThirteeniä verenvuototapahtumien ehkäisemiseksi.

## Mitä hyötyä NovoThirteen-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

NovoThirteen-valmisteella ennaltaehkäisevästi hoidetuilla potilailla oli vähemmän verenvuotojaksoja verrattuna aikaisempiin tietoihin potilaista, joita hoidettiin tarvittaessa toisella tekijä XIII:a sisältävällä lääkkeellä. Potilailla, jotka saivat ehkäisevää NovoThirteen-hoitoa, oli vuodessa keskimäärin noin 0,15 verenvuotojaksoa, jotka vaativat tekijä XIII -hoitoa. Sen sijaan potilailla, joita hoidettiin tarvittaessa toisella tekijä XIII:a sisältävällä lääkkeellä, oli noin 2,9 verenvuotojaksoa vuodessa.

Pitkäaikaistutkimuksessa alle 6-vuotiailla lapsilla, joita hoidettiin NovoThirteenillä, ei havaittu verenvuototapahtumia.

## Mitä riskejä NovoThirteeniin liittyy?

Yleisimmät NovoThirteenistä ilmoitetut sivuvaikutukset (1–10 potilaalla sadasta) ovat päänsärky, leukopenia (veren valkosolujen niukkuus), paheneva neutropenia (eräiden valkosolujen eli neutrofiilien niukkuus), raajakipu, pistoskohdan kipu sekä sellaisten vasta-aineiden esiintyminen veressä, jotka kiinnittyvät tekijä XIII:aan ja pieniin proteiinifragmentteihin nimeltä fibriinin D-dimeerit.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista ilmoitetuista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

## Miksi NovoThirteen on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea katsoi, että päätutkimuksesta oli saatu hyväksyttävät tulokset tehosta, koska vaikeita tai hengenvaarallisia verenvuotoja ei esiintynyt NovoThirteen-hoidon aikana. NovoThirteenin

pitkäaikaiseen käyttöön ei myöskään liittynyt merkittäviä sivuvaikutuksia. Lääkevalmistekomitea katsoi, että NovoThirteenin hyöty on sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sitä varten.

## **Miten voidaan varmistaa NovoThirteenin turvallinen ja tehokas käyttö?**

NovoThirteenin mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on kehitetty riskinhallintasuunnitelma. Tämän suunnitelman mukaisesti valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty NovoThirteenia koskevaa turvallisuustietoa, mukaan lukien terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi tarkoitettut asianmukaiset varotoimet.

Lisäksi NovoThirteen-valmistetta myyvä yhtiö toimittaa kaikille lääkäreille, joiden odotetaan määräävän sitä, lääkäreille ja potilaille tarkoitettun tietopaketin, joka sisältää tärkeää tietoa lääkkeen asianmukaisesta käytöstä. Se sisältää tietoa lääkkeen säilytyksestä, sillä käyttövalmiiksi saattamisen jälkeen epäasianmukainen säilytys saattaa lisätä aktivoituneen NovoThirteenin pitoisuutta veressä, mikä lisää verihyytymien muodostumisen riskiä verisuonissa (tromboosi). Tietopaketissa on myös tietoa lääkkeen annostelusta, koska NovoThirteen-valmistuksessa on eri pitoisuus tekijä XIII:a kuin muissa sitä sisältävissä lääkkeissä.

Lisätietoja löytyy riskinhallintasuunnitelman yhteenvedosta.

## **Muita tietoja NovoThirteen-valmistuksesta**

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan NovoThirteen-valmistetta varten 3. syyskuuta 2012.

NovoThirteen-valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan EMAn verkkosivustolla: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Lisätietoja NovoThirteen-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 02-2014.