



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR, sažetak za javnost

---

# NovoThirteen

## katridekakog

Ovo je sažetak Europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije o lijeku (EPAR) za lijek NovoThirteen. Objašnjava kako je Povjerenstvo za lijekove za primjenu kod ljudi (CHMP) ocijenilo lijek da bi donijelo svoje mišljenje u korist davanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet i svoje preporuke o uvjetima za primjenu lijeka NovoThirteen.

### Što je NovoThirteen?

NovoThirteen je lijek koji sadrži djelatnu tvar katridekakog. Dostupan je kao prašak i otopalo za pripremu otopine za injekciju.

### Za što se NovoThirteen koristi?

NovoThirteen se koristi za dugoročnu prevenciju krvarenja u bolesnika sa stanjem naziva „nedostatak faktora XIII podjedinice A“. Ovo je naslijeđeni poremećaj grušanja krvi koji karakteriziraju epizode krvarenja.

Ovaj se lijek izdaje samo na liječnički recept.

### Kako se NovoThirteen koristi?

Liječenje lijekom NovoThirteen potrebno je započeti pod nadzorom liječnika s iskustvom u liječenju rijetkih poremećaja krvarenja. Stanje se mora potvrditi primjerenim testovima prije početka terapije.

Preporučena doza iznosi 35 internacionalne jedinice (IU) po kilogramu tjelesne mase jednom mjesečno. Ova se doza daje kao jedna injekcija polako u venu. U određenim situacijama, liječnik može odlučiti prilagoditi dozu potrebnu za sprječavanje krvarenja na temelju razine faktora XIII u krvi bolesnika.



## Kako djeluje NovoThirteen?

Faktor XIII je protein koji sudjeluje u postupku grušanja krvi. Specifična komponenta faktora XIII naziva podjedinica A uključena je u stabiliziranje ugrušaka krvi i povećava snagu ugruška. Bolesnici oboljeli od prirođenog nedostatka faktora XIII podjedinice A nemaju dovoljno faktora XIII podjedinice A ili isti ispravno ne radi, zbog čega su podložni krvarenju. Djelatna tvar lijeka NovoThirteen, katridekalog, strukturno je ista kao humani faktor XIII podjedinice A. NovoThirteen djeluje tako što osigurava faktor XIII podjedinice A, što pomaže pri sprječavanju krvarenja u ovih bolesnika. NovoThirteen nije djelotvoran u bolesnika kojima nedostaje faktor XIII podjedinice B.

Faktor XIII podjedinica A u NovoThirteen proizvodi se metodom poznatom pod nazivom „tehnologija rekombinantne DNK“: proizvodi se iz stanica kvasca koji su primili gen (DNK) koji omogućuje stanicama da ga proizvode.

## Kako se lijek NovoThirteen ispitivao?

NovoThirteen je ispitan u jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 41 odraslu osobu i djecu stariju od 6 godina s prirođenim nedostatkom faktora XIII podjedinice A koji su prethodno liječeni lijekovima koji su sadržavali faktor XIII. Bolesnici su primali NovoThirteen tijekom jedne godine u preventivne svrhe. Ispitivanje je istražilo broj epizoda krvarenja koja su zahtijevala liječenje lijekovima koji su sadržavali faktor XIII u ovih bolesnika, u usporedbi s bolesnicima koji nisu primili lijek NovoThirteen, na temelju prethodnih podataka prikupljenih u 16 bolesnika s prirođenim nedostatkom faktora XIII podjedinice A. Ispitivanje je produljeno za godinu dana među 33 bolesnika kako bi se istražila dugoročna sigurnost liječenja lijekom NovoThirteen.

Sigurnost i djelotvornost lijeka NovoThirteen u djece mlađe od 6 godina poduprto je preliminarnim podacima iz dugoročnog ispitivanja koje još uvijek traje tijekom kojeg su bolesnici primali lijek NovoThirteen kako bi se spriječile epizode krvarenja.

## Koje su koristi lijeka NovoThirteen dokazane u ispitivanjima?

Učestalost epizoda krvarenja u bolesnika koji su preventivno primali lijek NovoThirteen bila je manja od učestalosti uočene u ranijim podacima prikupljenima u bolesnika koji su liječeni na zahtjev drugim lijekovima koji su sadržavali faktor XIII. Prosječno, bilo je otprilike 0,15 epizoda krvarenja godišnje koja su zahtijevala liječenje faktorom XIII po bolesniku koji je preventivno liječen lijekom NovoThirteen. Za usporedbu, otprilike 2,9 epizoda godišnje po bolesniku liječenom na zahtjev drugim lijekom koji je sadržavao faktor XIII.

Tijekom dugoročnog ispitivanja, u djece mlađe od 6 godina starosti liječene lijekom NovoThirteen nisu uočene epizode krvarenja.

## Koji su rizici povezani s lijekom NovoThirteen?

Najčešće nuspojave lijeka NovoThirteen (kod između 1 i 10 osoba) su glavobolja, leukopenija (mali broj bijelih krvnih stanica), pogoršana neutropenija (niska razina neutrofila, tipa bijelih krvnih stanica), bol u ekstremitetima, bol na mjestu injekcije i prisutnost protutijela koja se vežu na faktor XIII i malog broja fragmenata proteina u krvi naziva „fibrinski D-dimeri“.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja potražite u uputi o lijeku.

## Zašto je lijek NovoThirteen odobren?

CHMP je zaključio da je glavno ispitivanje osiguralo dovoljno zadovoljavajućih rezultata u smislu djelotvornosti, budući da tijekom liječenja lijekom NovoThirteen nije došlo do ozbiljnih ili po život opasnih krvarenja. Nadalje, nisu uočene značajne nuspojave prilikom dugoročne primjene lijeka NovoThirteen. CHMP je odlučio da koristi od lijeka NovoThirteen nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučilo izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

## Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka NovoThirteen?

Pripremljen je plan upravljanja rizikom kako bi se osigurala što sigurnija primjena lijeka NovoThirteen. Na temelju tog plana u sažetak opisa svojstava lijeka kao i u uputu o lijeku za lijek NovoThirteen uključene su sigurnosne informacije, uključujući odgovarajuće mjere opreza kojih se zdravstveni djelatnici i bolesnici trebaju pridržavati.

Nadalje, tvrtka koja stavlja lijek NovoThirteen u promet dostavit će svim liječnicima od kojih se očekuje da će propisivati lijek informacijski paket za liječnike i bolesnike koji će sadržavati važne informacije o ispravnoj primjeni lijeka. To uključuje i informacije o postupku pohranjivanja, budući da nepravilno pohranjivanje nakon rekonstitucije može uzrokovati povišene razine aktiviranog lijeka NovoThirteen, te stoga povećati i rizik od tromboze (formiranja krvnih ugrušaka u krvnim žilama), i informacije o postupcima primjene, budući da se koncentracija faktora XIII u lijeku NovoThirteen razlikuje od drugih lijekova koji sadrže faktor XIII.

Dodatne informacije možete pronaći u sažetku plana upravljanja rizikom.

## Ostale informacije o lijeku NovoThirteen

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje za lijek NovoThirteen vrijedi na prostoru Europske unije od 3. rujna 2012.

Cjelovito Europsko javno izvješće o ocjeni dokumentacije o lijeku (EPAR) za lijek NovoThirteen nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Više informacija o terapiji lijekom NovoThirteen pročitajte u uputu o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak je posljednji put ažuriran: 02.2014.