



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

NovoThirteen

katridekakog

Ez a dokumentum a NovoThirteen-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a NovoThirteen alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a NovoThirteen?

A NovoThirteen egy katridekakog nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Por és oldószer formájában kapható, amelyekből oldatos injekciót kell készíteni.

Milyen betegségek esetén alkalmazható a NovoThirteen?

A NovoThirteen-t a vérzések hosszú távú megelőzésére alkalmazzák a XIII-as faktor A alegységének veleszületett hiányában szenvedő betegeknél. Ez egy vérzéses epizódokkal jellemzett örökletes véralvadási rendellenesség.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a NovoThirteen-t?

A NovoThirteen-kezelést a ritka vérzési rendellenességek kezelésében jártas orvos felügyelete mellett kell megkezdeni. A kezelés megkezdése előtt a betegséget megfelelő tesztekkel kell igazolni.

A javasolt adag testtömeg-kilogrammonként 35 nemzetközi egység (NE), havonta egyszer. Ezt az adagot egyszeri, lassú vénás injekcióként kell beadni. Bizonyos esetekben a beteg vérében található XIII-as faktor szintje alapján az orvos úgy dönthet, hogy módosítja a vérzések megelőzéséhez szükséges adagot.

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Hogyan fejt ki hatását a NovoThirteen?

A XIII-as faktor olyan fehérje, amely a véralvadási folyamatban vesz részt. A XIII-as faktor A alegység néven ismert specifikus összetevője a véralvadékok stabilizálásában és az alvadék erejének növelésében játszik szerepet. A XIII-as faktor A alegységének veleszületett hiányában szenvedő betegek szervezetében nincs elegendő XIII-as faktor A alegység, vagy nem működik megfelelően, emiatt ezek a betegek hajlamosak a vérzésre. A NovoThirteen hatóanyaga, a katridekakog, szerkezetileg hasonló a humán XIII-as faktor A alegységhez. A NovoThirteen a XIII-as faktor A alegységének biztosítása révén fejt ki hatását, ami hozzájárul a vérzések megelőzéséhez ezeknél a betegeknél. A NovoThirteen nem működik a XIII-as faktor B alegységének hiányában szenvedő betegeknél.

A NovoThirteen-ben található XIII-as faktor A alegység a rekombináns DNS-technológia néven ismert módszerrel készül: a termelését végző élesztősejtekhez olyan gént (DNS-t) adtak, amely képessé teszi a sejteket az alegység előállítására.

Milyen módszerekkel vizsgálták a NovoThirteen-t?

A NovoThirteen-t egy fő vizsgálatban tanulmányozták 41 olyan felnőtt és 6 évesnél idősebb gyermek bevonásával, akik a XIII-as faktor A alegységének veleszületett hiányában szenvedtek, és akiket korábban már kezeltek XIII-as faktort tartalmazó gyógyszerekkel. A betegek egy éven át kapták a NovoThirteen-t megelőző kezelésként. A vizsgálat a XIII-as faktort tartalmazó gyógyszerrel végzett kezelést igénylő vérzéses epizódok számát hasonlította össze a fenti betegeknél, illetve olyan betegeknél, akik nem kaptak NovoThirteen-t, a XIII-as faktor A alegységének veleszületett hiányában szenvedő 16 betegről származó korábbi adatokra alapozva. 33 betegnél egy évvel meghosszabbították a vizsgálatot a NovoThirteen-kezelés hosszú távú biztonságosságának tanulmányozása céljából.

6 évesnél fiatalabb gyermekek esetében a NovoThirteen biztonságosságát és hatásosságát egy olyan, folyamatban lévő hosszú távú vizsgálat előzetes adataival támasztották alá, amelyben a betegek a vérzéses epizódok megelőzésére NovoThirteen-t kaptak.

Milyen előnyei voltak a NovoThirteen alkalmazásának a vizsgálatok során?

A NovoThirteen-nel megelőző jelleggel kezelt betegeknél a vérzéses epizódok aránya alacsonyabb volt, mint amit korábban figyeltek meg a XIII-as faktort tartalmazó másik gyógyszerrel szükség szerint kezelt betegeknél. A megelőző jellegű NovoThirteen-kezelést kapó betegeknél évente és betegenként átlagosan 0,15 olyan vérzéses epizód fordult elő, amely XIII-as faktoralal végzett kezelést igényelt. Ezzel szemben a XIII-as faktort tartalmazó, szükség szerinti adagolású másik gyógyszerrel kezelt betegeknél évente és betegenként körülbelül 2,9 epizód fordult elő.

A hosszú távú vizsgálatban a NovoThirteen-nel kezelt, 6 évesnél fiatalabb gyermekeknél nem figyeltek meg vérzéses epizódot.

Milyen kockázatokkal jár a NovoThirteen alkalmazása?

A NovoThirteen leggyakoribb mellékhatásai (100 beteg közül 1-10-nél jelentkezik) a fejfájás, a leukopénia (alacsony fehérvérsejtszám), a neutropénia súlyosbodása (a neutrofilek, vagyis egy bizonyos típusú fehérvérsejt alacsony szintje), a végtagfájdalmak, fájdalom az injekció beadásának helyén, valamint a XIII-as faktoralhoz kapcsolódó ellenanyagok és a „fibrin D-dimer” néven ismert kis fehérjetöredékek jelenléte a vérben.

Az összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a NovoThirteen forgalomba hozatalát?

A CHMP azt a következtetést vonta le, hogy a fő vizsgálat kielégítő eredményeket nyújtott a hatásosságot tekintve, mivel a NovoThirteen-kezelés folyamán nem fordult elő súlyos vagy életveszélyes vérzés. Továbbá, a NovoThirteen hosszú távú alkalmazása során nem észleltek jelentős mellékhatásokat. A CHMP megállapította, hogy a NovoThirteen alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a NovoThirteen biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A NovoThirteen lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a NovoThirteen-re vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

A NovoThirteen-t forgalmazó vállalat emellett köteles a gyógyszert várhatóan felíró valamennyi orvost ellátni az orvosoknak és a betegeknek szánt, a gyógyszer megfelelő alkalmazására vonatkozó fontos információkat tartalmazó információs csomaggal. Ebbe beletartoznak a tárolási eljárásokra vonatkozó információk, mivel az elkészítés utáni helytelen tárolás megnövelheti az aktivált NovoThirteen szintjét és ezáltal a trombózis (véralvadék képződése a vérerekben) kockázatát; továbbá ide tartoznak az adagolási eljárásokra vonatkozó információk is, mivel a NovoThirteen-ben található XIII-as faktor koncentrációja eltér az egyéb, XIII-as faktort tartalmazó gyógyszerekétől.

További információ a kockázatkezelési terv összefoglalójában található.

A NovoThirteen-nel kapcsolatos egyéb információ

2012. szeptember 3-án az Európai Bizottság a NovoThirteen-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A NovoThirteen-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a NovoThirteen-nel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 02-2014.