



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai**

---

# NovoThirteen

## katridekakogs

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *NovoThirteen*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles pirms sniegt pozitīvu atzinumu par reģistrācijas apliecības piešķiršanu un ieteikumus par *NovoThirteen* lietošanu.

### **Kas ir *NovoThirteen*?**

*NovoThirteen* ir zāles, kas satur aktīvo vielu katridekakogu. Tās ir pieejamas kā pulveris un šķīdinātājs injekciju šķīduma pagatavošanai.

### **Kāpēc lieto *NovoThirteen*?**

*NovoThirteen* lieto ilgstošai asiņošanas novēršanai pacientiem ar "iedzimtu XIII faktora A apakštipa deficītu". Šis ir iedzimts asinsreces traucējums, kam raksturīgas asiņošanas epizodes.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

### **Kā lieto *NovoThirteen*?**

Ārstēšana ar *NovoThirteen* jāsāk retu asinsreces traucējumu ārstēšanā pieredzējuša ārsta uzraudzībā. Pirms ārstēšanas sākšanas diagnoze jāapstiprina ar piemērotām pārbaudēm.

Ieteicamā deva ir 35 starptautiskās vienības (SV) uz kilogramu ķermeņa svara vienreiz mēnesī. Šo devu ievada vienreizējas lēnas injekcijas veidā vēnā. Noteiktās situācijās ārsts var nolemt pielāgot devu, kāda nepieciešama asiņošanas novēršanai, pamatojoties uz XIII faktora līmeni pacienta asinīs.

### **Kā *NovoThirteen* darbojas?**

XIII faktors ir asinsreces procesā iesaistīta olbaltumviela. Specifiska XIII faktora komponente, ko dēvē par A apakštipu, ir iesaistīta asins trombu stabilizēšanā un tromba izturības palielināšanā. Pacientiem ar iedzimtu XIII faktora A apakštipa deficītu nav pietiekami daudz XIII faktora A apakštipa vai tas



nedarbojas pilnvērtīgi, kas pacientiem rada noslieci uz asiņošanu. *NovoThirteen* aktīvā viela katriekakogs strukturāli ir tāds pats, kā cilvēka XIII faktora A apakštips. *NovoThirteen* darbojas, piegādājot XIII faktora A apakštipu, kas palīdz novērst asiņošanu šiem pacientiem. *NovoThirteen* nedarbojas pacientiem, kuriem trūkst XIII faktora B apakštips.

*NovoThirteen* sastāvā esošo XIII faktora A apakštipu izgatavo ar metodi, ko dēvē par "rekombinantās DNS tehnoloģiju": to sintezē rauga šūnās, kurās ievadīts gēns (DNS), kas piešķir tām spēju sintezēt šo vielu.

## **Kā noritēja *NovoThirteen* izpēte?**

*NovoThirteen* pētīja pamatpētījumā, iesaistot 41 pieaugušo un bērnus vecākus par 6 gadiem ar iedzimtu XIII faktora A apakštīpa deficītu, kas iepriekš ārstēts ar XIII faktoru saturošām zālēm. Pacientiem *NovoThirteen* lietoja profilaktiski vienu gadu. Pētījumā vērtēja asiņošanas epizožu skaitu, kuru dēļ šiem pacientiem nepieciešama ārstēšana ar XIII faktoru saturošām zālēm, salīdzinot ar pacientiem, kuri nebija saņēmuši *NovoThirteen*, pamatojoties uz iepriekš iegūtiem datiem par 16 pacientiem ar iedzimtu XIII faktora A apakštīpa deficītu. Pētījumu vēl par gadu pagarināja 33 pacientiem, lai novērtētu ilgstošas *NovoThirteen* terapijas drošumu.

*NovoThirteen* drošumu un efektivitāti attiecībā bērniem jaunākiem par 6 gadiem pamatoja sākotnējie dati, kas iegūti no notiekošā ilgstošā pētījuma, kura laikā pacientiem deva *NovoThirteen*, lai novērstu asiņošanas epizodes.

## **Kādas bija *NovoThirteen* priekšrocības šajos pētījumos?**

Asiņošanas epizožu biežums pacientiem, kuri preventīvi saņēma *NovoThirteen*, bija mazāks, nekā konstatēts iepriekš ar citām XIII faktoru saturošām zālēm pēc vajadzības ārstētiem pacientiem. Uz vienu pacientu, kurš profilaktiski ārstēts ar *NovoThirteen*, gada laikā vidēji bija aptuveni 0,15 asiņošanas epizodes, kuru gadījumā nepieciešama ārstēšana ar XIII faktoru. To salīdzināja ar aptuveni 2,9 epizodēm gada laikā uz pacientu, kurš pēc nepieciešamības ārstēts ar citām XIII faktoru saturošām zālēm.

Ilgstošā pētījuma laikā bērniem jaunākiem par 6 gadiem, kurus ārstēja ar *NovoThirteen*, asiņošanas epizodes netika novērotas.

## **Kāds risks pastāv, lietojot *NovoThirteen*?**

Visbiežāk novērotās *NovoThirteen* blakusparādības (1 līdz 10 pacientiem no 100) ir galvassāpes, leikopēnija (mazs balto asins šūnu skaits), pastiprināta neitropēnija (mazs neitrofilo leikocītu (balto asins šūnu paveids) skaits), sāpes ekstremitātēs, sāpes injekcijas vietā, kā arī asinīs konstatētas antivielas, kas piesaistās pie XIII faktora, un mazi olbaltumvielu fragmenti, ko dēvē par fibrīna D-dimēriem.

Pilns visu blakusparādību un ierobežojumu saraksts ir atrodams lietošanas instrukcijā.

## **Kāpēc *NovoThirteen* tika apstiprinātas?**

CHMP secināja, ka pamatpētījums ir sniedzis apmierinošus rezultātus attiecībā uz efektivitāti, jo ārstēšanas laikā ar *NovoThirteen* smaga vai dzīvībai bīstama asiņošana nav konstatēta. Turklāt ilgstošas *NovoThirteen* lietošanas gadījumā nekonstatēja būtiskas blakusparādības. CHMP nolēma, ka pacientu ieguvums, lietojot *NovoThirteen*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

## **Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu un efektīvu *NovoThirteen* lietošanu?**

Lai nodrošinātu iespējami nekaitīgu *NovoThirteen* lietošanu, ir izstrādāts riska pārvaldības plāns. Pamatojoties uz šo plānu, zāļu aprakstā ietverta drošuma informācija, kā arī *NovoThirteen* lietošanas instrukcija, tostarp attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Turklāt uzņēmums, kas pārdod *NovoThirteen*, visiem ārstiem, kuri varētu parakstīt šīs zāles, nodrošinās ārstiem un pacientiem paredzētu informācijas paketi, kas satur nozīmīgu informāciju par pareizu zāļu lietošanu. Tajā ir iekļauta informācija par uzglabāšanas apstākļiem, jo nepareiza uzglabāšana pēc šķīduma pagatavošanas var izraisīt aktivētā *NovoThirteen* līmeņa palielināšanos, tādējādi palielinot trombozes (asins trombu veidošanās asinsvados) risku, un par ievadišanas kārtību, jo *NovoThirteen* XIII faktora koncentrācija ir citāda, nekā citām XIII faktoru saturošām zālēm.

Papildu informācija ir pieejama riska pārvaldības plāna kopsavilkumā.

### **Cita informācija par *NovoThirteen***

Eiropas Komisija 2012. gada 3. septembrī izsniedza *NovoThirteen* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *NovoThirteen* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *NovoThirteen* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai, sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 02.2014.