



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

# NovoThirteen

katridekakog

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku NovoThirteen. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił przeprowadzone badania w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu NovoThirteen do obrotu, oraz zaleceń w sprawie stosowania leku.

### Co to jest NovoThirteen?

NovoThirteen to lek zawierający substancję czynną katridekakog. Lek jest dostępny w postaci proszku i rozpuszczalnika do sporządzania roztworu do wstrzykiwań.

### W jakim celu stosuje się produkt NovoThirteen?

Produkt NovoThirteen stosuje się do długoterminowego zapobiegania krwawieniu u pacjentów z wrodzonym niedoborem podjednostki A czynnika XIII. Jest to dziedziczne zaburzenie krzepliwości krwi, charakteryzujące się występowaniem epizodów krwawienia.

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

### Jak stosować produkt NovoThirteen?

Leczenie produktem NovoThirteen należy rozpocząć pod nadzorem lekarza mającego doświadczenie w leczeniu rzadkich zaburzeń krzepliwości krwi. Rozpoznanie choroby musi zostać potwierdzone wynikami stosownych badań przed rozpoczęciem leczenia.

Zalecana dawka leku wynosi 35 jednostek międzynarodowych (j.m.)/kg masy ciała raz w miesiącu. Dawkę podaje się dożylnie w postaci jednego, wykonywanego powoli wstrzyknięcia. W określonych sytuacjach lekarz może dostosować dawkę niezbędną do zapobieżenia krwawieniu, biorąc pod uwagę stężenie czynnika XIII we krwi pacjenta.



## **Jak działa produkt NovoThirteen?**

Czynnik XIII jest białkiem biorącym udział w procesie krzepnięcia krwi. Określony składnik czynnika XIII, zwany podjednostką A, uczestniczy w stabilizacji skrzepu krwi i jego wzmacnianiu. Pacjenci z niedoborem podjednostki A czynnika XIII nie posiadają wystarczającej ilości podjednostki A czynnika XIII lub nie działa ona prawidłowo, przez co chorzy są podatni na krwawienie. Substancja czynna zawarta w leku NovoThirteen, katridekakog, jest strukturalnie identyczna z podjednostką A ludzkiego czynnika XIII. Działanie leku NovoThirteen polega na dostarczaniu podjednostki A czynnika XIII, co pomaga zapobiegać krwawieniu u tych pacjentów. Produkt NovoThirteen nie jest skuteczny u pacjentów z niedoborem podjednostki B czynnika XIII.

Podjednostka A czynnika XIII znajdująca się w leku NovoThirteen jest produkowana z zastosowaniem metody znanej jako technologia rekombinacji DNA. Podjednostkę tę wytwarzają komórki drożdży, które otrzymały gen (DNA) umożliwiający jej produkcję.

## **Jak badano produkt NovoThirteen?**

Produkt NovoThirteen oceniano w badaniu głównym z udziałem 41 osób dorosłych i dzieci w wieku powyżej 6 lat z niedoborem podjednostki A czynnika XIII, którzy byli wcześniej leczeni produktami zawierającymi czynnik XIII. Pacjentom podawano lek NovoThirteen przez jeden rok w celach profilaktycznych. W badaniu porównywano liczbę epizodów krwawienia wymagających leczenia produktem zawierającym czynnik XIII u tych pacjentów z liczbą epizodów krwawienia u pacjentów, którzy nie otrzymywali leku NovoThirteen. Do tego celu korzystano z wcześniejszych danych uzyskanych od 16 pacjentów z niedoborem podjednostki A czynnika XIII. Badanie przedłużono o kolejny rok i objęto nim 33 pacjentów w celu obserwacji długoterminowego bezpieczeństwa stosowania leku NovoThirteen.

Dowodem na bezpieczeństwo i skuteczność stosowania produktu NovoThirteen u dzieci w wieku poniżej 6 lat były wstępne dane pochodzące z trwającego badania długoterminowego, w którym pacjentom podawano lek NovoThirteen w celu zapobiegania epizodom krwawienia.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu NovoThirteen zaobserwowano w badaniach?**

Częstość występowania epizodów krwawienia u pacjentów profilaktycznie leczonych produktem NovoThirteen była niższa niż liczba epizodów krwawienia zaobserwowana podczas wcześniejszego badania u pacjentów leczonych na żądanie innym lekiem zawierającym czynnik XIII. Średnia częstość występowania epizodów krwawienia wymagających leczenia czynnikiem XIII wyniosła 0,15 na rok na pacjenta, który był profilaktycznie leczony produktem NovoThirteen. Dla porównania częstość występowania epizodów krwawienia u pacjentów leczonych na żądanie innym lekiem zawierającym czynnik XIII, wyniosła 2,9 na rok na pacjenta.

Podczas badania długoterminowego nie zaobserwowano epizodów krwawienia u dzieci poniżej 6 lat leczonych produktem NovoThirteen.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu NovoThirteen?**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku NovoThirteen (obserwowane u 1 do 10 na 100 pacjentów) to: ból głowy, leukopenia (mała liczba białych krwinek), nasilona neutropenia (obniżony poziom neutrofilów, rodzaju białych krwinek), ból kończyn, ból w miejscu wstrzyknięcia, obecność przeciwciał wiążących się z czynnikiem XIII we krwi i małych fragmentów białek, znanych jako D-dimery fibryny.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem produktu NovoThirteen znajduje się w ulotce dla pacjenta.

### **Na jakiej podstawie zatwierdzono produkt NovoThirteen?**

CHMP uznał, że badanie główne dostarczyło zadowalających wyników dotyczących skuteczności działania leku, ponieważ w trakcie leczenia produktem NovoThirteen nie zanotowano żadnych ciężkich ani zagrażających życiu przypadków krwawienia. Ponadto podczas długotrwałego stosowania leku NovoThirteen nie zaobserwowano żadnych poważnych działań niepożądanych. CHMP uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu NovoThirteen przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

### **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu NovoThirteen?**

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu NovoThirteen opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących produktu NovoThirteen zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Ponadto firma odpowiedzialna za sprzedaż produktu NovoThirteen dostarczy wszystkim lekarzom, którzy mogą przepisywać lek, pakiet informacyjny dla lekarzy i pacjentów, zawierający ważne informacje dotyczące właściwego stosowania leku. Pakiet zawiera informacje dotyczące procedur przechowywania, gdyż nieprawidłowe przechowywanie po rozpuszczeniu leku może powodować zwiększenie ilości aktywowanej postaci produktu NovoThirteen, tym samym zwiększając ryzyko wystąpienia zakrzepicy (powstawanie zakrzepów w naczyniach krwionośnych), oraz informacje na temat sposobów podawania leku, ponieważ stężenie czynnika XIII w produkcie NovoThirteen różni się od stężenia czynnika XIII w innych tego typu lekach.

Więcej informacji znajduje się w streszczeniu planu zarządzania ryzykiem.

### **Inne informacje dotyczące produktu NovoThirteen:**

W dniu 3 września 2012 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu NovoThirteen do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu NovoThirteen znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem NovoThirteen należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 02.2014.