



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Súhrn správy EPAR pre verejnosť

---

# NovoThirteen

katridekakog

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku NovoThirteen. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek NovoThirteen.

## Čo je liek NovoThirteen?

NovoThirteen je liek, ktorý obsahuje účinnú látku katridekakog. Je dostupný vo forme prášku a rozpúšťadla, z ktorých sa pripravuje injekčný roztok.

## Na čo sa liek NovoThirteen používa?

Liek NovoThirteen sa používa na dlhodobú prevenciu krvácania u pacientov s ochorením, ktoré sa nazýva kongenitálna deficiencia podjednotky A faktora XIII. Ide o dedičnú poruchu zrážanlivosti krvi charakterizovanú epizódami krvácania.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

## Ako sa liek NovoThirteen používa?

Liečba liekom NovoThirteen sa má začať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s liečbou zriedkavých porúch spojených s krvácaním. Ochorenie sa musí potvrdiť pred začatím liečby na základe príslušných testov.

Odporúčaná dávka je 35 medzinárodných jednotiek (IU) na kilogram telesnej hmotnosti jedenkrát za mesiac. Táto dávka sa podáva formou jednej pomalej injekcie do žily. Lekár môže v určitých situáciách rozhodnúť o úprave dávky potrebnej na prevenciu krvácania na základe hladiny faktora XIII v krvi pacienta.



## **Akým spôsobom liek NovoThirteen účinkuje?**

Faktor XIII je proteín, ktorý sa podieľa na procese zrážania krvi. Špecifická zložka faktora XIII nazývaná podjednotka A sa podieľa na stabilizácii krvných zrazenín a zvyšovaní sily krvnej zrazeniny. Pacienti s kongenitálnou deficienciou podjednotky A faktora XIII nemajú dostatočné množstvo podjednotky A faktora XIII alebo táto podjednotka náležite neúčinkuje, v dôsledku čoho sú náchylní na krvácanie. Účinná látka lieku NovoThirteen, katridekakog, má rovnakú štruktúru ako podjednotka A ľudského faktora XIII. Liek NovoThirteen účinkuje tak, že poskytuje podjednotku A faktora XIII, čo u týchto pacientov pomáha pri prevencii krvácania. Liek NovoThirteen neúčinkuje u pacientov, ktorým chýba podjednotka B faktora XIII.

Podjednotka A faktora XIII v lieku NovoThirteen je vyrobená metódou, ktorá je známa ako tzv. technológia rekombinantnej DNA: vytvárajú ju bunky kvasiniek, ktoré prijali gén (DNA), v dôsledku čoho sú tieto bunky schopné vytvárať podjednotku.

## **Ako bol liek NovoThirteen skúmaný?**

Liek NovoThirteen bol skúmaný v jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 41 dospelých osôb a detí starších ako 6 rokov s kongenitálnou deficienciou podjednotky A faktora XIII, ktorí boli v minulosti liečení liekmi obsahujúcimi faktor XIII. Pacienti dostávali liek NovoThirteen počas jedného roka na preventívne použitie. V štúdii sa skúmal počet epizód krvácania u týchto pacientov, ktoré si vyžiadali liečbu liekom obsahujúcim faktor XIII, v porovnaní s pacientmi, ktorí nedostávali liek NovoThirteen, na základe skorších údajov od 16 pacientov s kongenitálnou deficienciou podjednotky A faktora XIII. Štúdia bola predĺžená o ďalší rok v prípade 33 z týchto pacientov, aby sa preskúmala dlhodobá bezpečnosť liečby liekom NovoThirteen.

Bezpečnosť a účinnosť lieku NovoThirteen u detí mladších ako 6 rokov podporili predbežné údaje z prebiehajúcej dlhodobej štúdie, počas ktorej sa pacientom podával liek NovoThirteen na prevenciu epizód krvácania.

## **Aký prínos preukázal liek NovoThirteen v týchto štúdiách?**

Miera epizód krvácania u pacientov užívajúcich preventívne liek NovoThirteen bola nižšia ako miera pozorovaná v rámci skorších údajov týkajúcich sa pacientov liečených na požiadanie iným liekom obsahujúcim faktor XIII. Ročne sa vyskytlo priemerne asi 0,15 epizódy krvácania vyžadujúcej liečbu faktorom XIII na pacienta liečeného preventívne liekom NovoThirteen. U pacientov liečených na požiadanie iným liekom obsahujúcim faktor XIII sa vyskytlo ročne asi 2,9 epizódy na pacienta.

Počas dlhodobej štúdie sa nepozorovali žiadne epizódy krvácania u detí mladších ako 6 rokov, ktoré boli liečené liekom NovoThirteen.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku NovoThirteen?**

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku NovoThirteen (pozorované u 1 až 10 pacientov zo 100) sú bolesť hlavy, leukopénia (nízky počet bielych krviniek), zhoršenie neutropénie (nízka hladina neutrofilov, typu bielych krviniek), bolesť končatín, bolesť v mieste vpichu a prítomnosť protilátok v krvi, ktoré sa viažu na faktor XIII, a malých proteínových fragmentov nazývaných fibrínový D-dimér.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

## **Prečo bol liek NovoThirteen povolený?**

Výbor CHMP dospel k záveru, že hlavná štúdia poskytla uspokojivé výsledky, pokiaľ ide o účinnosť, keďže počas liečby liekom NovoThirteen sa nevyskytlo závažné alebo život ohrozujúce krvácanie. Okrem toho sa ani pri dlhodobom používaní lieku NovoThirteen nepozorovali žiadne závažné vedľajšie účinky. Výbor CHMP rozhodol, že prínosy lieku NovoThirteen sú väčšie než riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na uvedenie na trh.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku NovoThirteen?**

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku NovoThirteen bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľov zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku NovoThirteen vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Okrem toho spoločnosť, ktorá uvádza liek NovoThirteen na trh, poskytne všetkým lekárom, ktorí pravdepodobne budú predpisovať tento liek, informačný balík pre lekárov a pacientov obsahujúci dôležité informácie o správnom používaní lieku. Patria sem informácie o postupoch uchovávania, keďže nesprávne uchovávanie po rekonštitúcii môže zapríčiniť zvýšenú úroveň aktivácie lieku NovoThirteen, čo zvyšuje riziko trombózy (tvorby krvných zrazenín v krvných cievach), a informácie o postupoch podávania, keďže koncentrácia faktora XIII v lieku NovoThirteen je odlišná ako v iných liekoch obsahujúcich faktor XIII.

Viac informácií sa nachádza v súhrne plánu riadenia rizík.

## **Ďalšie informácie o lieku NovoThirteen**

Dňa 3. septembra 2012 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku NovoThirteen na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku NovoThirteen sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete viac informácií o liečbe liekom NovoThirteen, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho lekára alebo lekárnik.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 02-2014