



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

NovoThirteen

katridekakog

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo NovoThirteen. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil to zdravilo, na podlagi česar je oblikoval mnenje za izdajo dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

Kaj je zdravilo NovoThirteen?

NovoThirteen je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino katridekakog. Na voljo je kot prašek in vehikel za pripravo raztopine za injiciranje.

Za kaj se zdravilo NovoThirteen uporablja?

Zdravilo NovoThirteen se uporablja za dolgoročno preprečevanje krvavitev pri bolnikih z motnjo, imenovano prirojeno pomanjkanje podenote A faktorja XIII. To je dedna motnja strjevanja krvi, za katero so značilne krvavitve.

Izdaja zdravila je le na recept.

Kako se zdravilo NovoThirteen uporablja?

Zdravljenje z zdravilom NovoThirteen je treba začeti pod nadzorom zdravnika, ki ima izkušnje z zdravljenjem redkih motenj strjevanja krvi. Pred začetkom zdravljenja je treba motnjo potrditi z ustreznimi testi.

Priporočeni odmerek je 35 mednarodnih enot (i.e.) na kilogram telesne mase enkrat mesečno. Daje se z enkratnim, počasnim injiciranjem v veno. V določenih primerih se lahko zdravnik na podlagi analize bolnikove ravni faktorja XIII v krvi odloči, da prilagodi odmerek, potreben za preprečevanje krvavitev.



Kako zdravilo NovoThirteen deluje?

Faktor XIII je beljakovina, ki je vključena v proces strjevanja krvi. Posebna sestavina faktorja XIII, imenovana podenota A, sodeluje pri stabilizaciji krvnih strdkov in povečevanju njihove trdnosti. Bolniki s prirojenim pomanjkanjem podenote A faktorja XIII imajo te enote premalo ali jim ne deluje pravilno, zaradi česar so nagnjeni h krvavitvam. Zdravilna učinkovina zdravila NovoThirteen, katridekagog, je po zgradbi enaka človeški podenoti A faktorja XIII. Zdravilo NovoThirteen deluje tako, da zagotavlja podenoto A faktorja XIII, kar pomaga pri preprečevanju krvavitev pri teh bolnikih. Zdravilo ne deluje pri bolnikih, ki jim primanjkuje podenota B faktorja XIII.

Podenoto A faktorja XIII v zdravilu NovoThirteen proizvajajo z metodo, imenovano „tehnologija rekombinantne DNK“, pri kateri kvasovke prejmejo gen (DNK), s katerimi jo lahko tvorijo.

Kako je bilo zdravilo NovoThirteen raziskano?

Zdravilo NovoThirteen so proučevali v glavni študiji, v katero je bilo vključenih 41 odraslih in otrok, starejših od šest let, s prirojenim pomanjkanjem podenote A faktorja XIII, ki so se v preteklosti zdravili z zdravili, ki vsebujejo faktor XIII. Bolniki so eno leto preventivno prejeli zdravilo NovoThirteen. V študiji so proučevali število krvavitev, pri katerih je bilo pri teh bolnikih potrebno zdravljenje z zdravilom, ki vsebuje faktor XIII, v primerjavi z bolniki, ki niso prejeli zdravila NovoThirteen, na podlagi predhodnih podatkov 16 bolnikov s prirojenim pomanjkanjem podenote A faktorja XIII. Študija je bila pri 33 bolnikih podaljšana za še eno leto, da bi proučili dolgoročno varnost zdravljenja z zdravilom NovoThirteen.

Varnost in učinkovitost zdravila NovoThirteen pri otrocih, mlajših od šest let, sta bili podprti s predhodnimi podatki iz potekajoče dolgoročne študije, med katero so bolniki to zdravilo prejeli za preprečevanje krvavitev.

Kakšne koristi je zdravilo NovoThirteen izkazalo med študijami?

Pri bolnikih, ki so zdravilo NovoThirteen prejeli preventivno, je bila pogostost krvavitev manjša od pogostosti, razvidne iz predhodnih podatkov bolnikov, zdravljenih po potrebi z drugim zdravilom, ki vsebuje faktor XIII. V povprečju je pri bolniku, preventivno zdravljenem z zdravilom NovoThirteen, na leto prišlo do približno 0,15 krvavitve, pri kateri je bilo potrebno zdravljenje s faktorjem XIII. Pri bolniku, zdravljenem po potrebi z drugim zdravilom, ki vsebuje faktor XIII, pa je na leto prišlo do 2,9 krvavitve.

Med dolgoročno študijo niso opazili nobenih krvavitev pri otrocih, mlajših od šest let, zdravljenih z zdravilom NovoThirteen.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom NovoThirteen?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila NovoThirteen (opaženi pri 1 do 10 bolnikih od 100) so glavobol, levkopenija (nizko število belih krvničk), poslabšanje nevtropenije (nizke ravni nevtrofilcev, vrste belih krvničk), bolečine v okončinah, bolečina na mestu injiciranja ter prisotnost protiteles, ki se vežejo na faktor XIII, in drobnih beljakovinskih delcev, imenovanih fibrinski D-dimer, v krvi.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo NovoThirteen odobreno?

CHMP je zaključil, da so rezultati glavne študije z vidika učinkovitosti zadovoljivi, saj med zdravljenjem z zdravilom NovoThirteen ni prišlo do resnih ali življenjsko nevarnih krvavitev. Poleg tega pri

dolgoročnem zdravljenju z zdravilom NovoThirteen niso bili opaženi resnejši neželeni učinki. Odbor je zato zaključil, da so koristi zdravila NovoThirteen večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj izda dovoljenje za promet.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila NovoThirteen?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila NovoThirteen je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila NovoThirteen in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Družba, ki trži zdravilo NovoThirteen, bo vsem zdravnikom, za katere se pričakuje, da ga bodo predpisovali, zagotovila informativne brošure, ki bodo vsebovale pomembne informacije za zdravnike in bolnike o pravilni uporabi zdravila. Vsebovale bodo informacije o postopkih shranjevanja, saj lahko nepravilno shranjevanje po pripravi povzroči povišane ravni aktiviranega zdravila NovoThirteen in s tem poveča tveganje za trombozo (tvorjenje krvnih strdkov v ožilju), ter informacije o načinih uporabe, saj je koncentracija faktorja XIII v zdravilu NovoThirteen drugačna kot pri drugih zdravilih, ki ga vsebujejo.

Dodatne informacije so na voljo v povzetku načrta obvladovanja tveganj.

Druge informacije o zdravilu NovoThirteen

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom NovoThirteen, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 3. septembra 2012.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo NovoThirteen je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Za več informacij o zdravljenju z zdravilom NovoThirteen preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 02-2014.