



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

NovoThirteen

katridekakog

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för NovoThirteen. Det förklarar hur kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är NovoThirteen?

NovoThirteen är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen katridekakog. Det finns som ett pulver och en vätska för beredning till en injektionsvätska, lösning.

Vad används NovoThirteen för?

NovoThirteen används för att långvarigt förebygga blödning hos patienter med en sjukdom som kallas "medfödd brist på faktor XIII A-subenhet". Detta är en ärftlig sjukdom som berör blodets koagulering och kännetecknas av blödningsepisoder.

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används NovoThirteen?

Behandling med NovoThirteen bör påbörjas i samråd med en läkare med erfarenhet av behandling av sällsynta blödningssjukdomar. Sjukdomen måste vara fastställd med lämpliga tester innan behandling påbörjas.

Den rekommenderade dosen är 35 internationella enheter (IE) per kilo kroppsvikt en gång i månaden. Denna dos ges som en enda långsam injektion i en ven. I vissa situationer kan läkaren besluta att justera den dos som krävs för att förebygga blödning på grundval av patientens halter av faktor XIII i blodet.



Hur verkar NovoThirteen?

Faktor XIII är ett protein som är inblandat i blodets koagulering. En särskild komponent av faktor XIII som kallas A-subenhet är inblandat i stabiliseringen av blodkoagel och ökar koaglets styrka. Patienter med medfödd brist på faktor XIII A-subenhet har inte tillräckligt med faktor XIII A-subenhet, eller så fungerar den inte på rätt sätt, vilket gör att de lättare får blödningar. Den aktiva substansen i NovoThirteen, katridekakog, är till sin struktur detsamma som mänsklig faktor XIII A-subenhet. NovoThirteen verkar genom att tillhandahålla faktor XIII A-subenheten, vilket hjälper till att förebygga blödningar hos dessa patienter. NovoThirteen verkar inte hos patienter som saknar faktor XIII B-subenheten.

Faktor XIII A-subenheten i NovoThirteen framställs med en metod som kallas rekombinant DNA-teknik, vilket innebär att den framställs av jästceller som fått en gen (DNA) som gör att cellerna kan producera den.

Hur har NovoThirteens effekt undersökts?

NovoThirteen har undersökts i en huvudstudie på 41 vuxna och barn över sex år med medfödd brist på faktor XIII A-subenhet som tidigare behandlats med läkemedel som innehåller faktor XIII. Patienterna fick NovoThirteen under ett år som förebyggande behandling. I studien undersöktes antalet blödningsepisoder som krävde behandling med ett faktor XIII-innehållande läkemedel hos dessa patienter, jämfört med patienter som inte hade fått NovoThirteen, baserat på tidigare data från 16 patienter med medfödd brist på faktor XIII A-subenhet. Studien förlängdes med ytterligare ett år med 33 av patienterna, för att undersöka långsiktig säkerhet av behandling med NovoThirteen.

NovoThirteens säkerhet och effekt hos barn under sex år stöddes av preliminära data från en pågående långtidsstudie där patienterna fick NovoThirteen för att förhindra blödningsepisoder.

Vilken nytta har NovoThirteen visat vid studierna?

Antalet blödningsepisoder hos patienter som fick NovoThirteen som förebyggande behandling var lägre än det antal som setts i tidigare data från patienter som behandlats vid behov med ett annat faktor XIII-innehållande läkemedel. I genomsnitt förekom cirka 0,15 blödningsepisoder som krävde behandling med faktor XIII per år och patient som fått förebyggande behandling med NovoThirteen. Detta ska jämföras med cirka 2,9 episoder per år och patient som behandlats vid behov med ett annat faktor XIII-innehållande läkemedel.

Under långtidsstudien observerades inga blödningsepisoder hos barn under sex år som behandlades med NovoThirteen.

Vilka är riskerna med NovoThirteen?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av NovoThirteen (uppträder hos 1–10 patienter av 100) är huvudvärk, leukopeni (lågt antal vita blodkroppar), förvärrad neutropeni (lågt antal neutrofiler, en slags vita blodkroppar), smärta i ben och armar, smärta på injektionsstället samt närvaro i blodet av antikroppar som fäster vid faktor XIII och av små proteinfragment som kallas fibrin D-dimer.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför har NovoThirteen godkänts?

CHMP fann att resultaten av huvudstudien var tillfredsställande vad gäller effektivitet, eftersom inga allvarliga eller livshotande blödningar inträffade under behandling med NovoThirteen. Dessutom sågs

inga större biverkningar vid långtidsbehandling med NovoThirteen. CHMP fann att nyttan med NovoThirteen är större än riskerna och rekommenderade att NovoThirteen skulle godkännas för försäljning.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av NovoThirteen?

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att NovoThirteen används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för NovoThirteen. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

Företaget som tillverkar NovoThirteen kommer dessutom att förse alla läkare som förväntas förskriva läkemedlet med ett informationspaket för läkare och patienter som innehåller viktig information om hur läkemedlet används rätt. Detta består bland annat av förvaringsanvisningar, eftersom en felaktig förvaring efter beredning kan leda till förhöjda halter av aktiverat NovoThirteen, vilket ökar risken för trombos (bildning av blodproppar i blodkärlen), samt administreringsanvisningar, eftersom faktor XIII-koncentrationen i NovoThirteen skiljer sig från andra faktor XIII-innehållande läkemedel.

I sammanfattningen av riskhanteringsplanen finns mer information.

Mer information om NovoThirteen

Den 3 september 2012 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av NovoThirteen som gäller i hela EU.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med NovoThirteen finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 02-2014.