



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/653987/2017  
EMA/H/C/002813

## EPAR – sammendrag for offentligheden

---

### Nuwiq

#### simoctocog alfa

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Nuwiq. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Nuwiq bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Nuwiq, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

### Hvad er Nuwiq, og hvad anvendes det til?

Nuwiq er et lægemiddel, der anvendes til behandling og forebyggelse af blødning hos patienter i alle aldre med hæmofili A (en arvelig blødersygdom, der skyldes mangel på faktor VIII). Det indeholder det aktive stof simoctocog alfa (human koagulationsfaktor VIII).

### Hvordan anvendes Nuwiq?

Nuwiq udleveres kun efter recept, og behandlingen bør iværksættes under opsyn af en læge med erfaring i behandling af hæmofili.

Nuwiq leveres som pulver og solvens, der blandes sammen til en opløsning, som gives ved injektion i en vene. Dosis og varighed af behandlingen afhænger af, om Nuwiq skal anvendes til behandling eller til forebyggelse af blødning eller under operation, og af patientens faktor VIII-niveauer, sygdommens sværhedsgrad, blødningens omfang og beliggenhed samt patientens tilstand og kropsvægt. Nuwiq er beregnet til enten kortvarig eller langvarig brug.

Patienten eller dennes omsorgsgiver har mulighed for selv at indgive Nuwiq hjemme efter at have fået passende instruktion. De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.



## Hvordan virker Nuwiq?

Det aktive stof i Nuwiq, simoctocog alfa (human koagulationsfaktor VIII), er et stof, der hjælper blodet med at størkne. Patienter med hæmofili A mangler faktor VIII, og dette medfører problemer med blodets størkning, såsom blødning i led, muskler eller indre organer. Nuwiq anvendes til at korrigere manglen på faktor VIII ved at erstatte den manglende faktor VIII, hvorved der opnås midlertidig kontrol med blødersygdommen.

Simoctocog alfa dannes ved hjælp af en metode kaldet "rekombinant DNA-teknologi", dvs. det fremstilles af celler, der har fået indsat et gen (DNA), som gør dem i stand til at producere det.

## Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Nuwiq?

Nuwiqs effektivitet til at behandle og forebygge blødningsepisoder er blevet påvist i tre hovedundersøgelser, som omfattede 113 patienter med hæmofili A.

I den første undersøgelse deltog der 22 patienter på 12 år og derover, som fik Nuwiq til behandling af blødningsepisoder eller til forebyggelse af blødning under operation. Der blev i alt registreret 986 blødningsepisoder, hvoraf størstedelen svandt med en enkelt indsprøjtning af Nuwiq. Behandlingens virkning blev hovedsagelig målt på patienternes vurdering af, hvor godt behandlingen virkede. Behandlingen med Nuwiq blev bedømt som "udmærket" eller "godt" ved 94 % af blødningsepisoderne. Ved de to operationer, der blev udført i løbet af undersøgelsen, blev Nuwiq bedømt som udmærket til at forebygge blødningsepisoder.

Den anden undersøgelse omfattede 32 patienter på 12 år og derover, som fik Nuwiq til forebyggelse og behandling af blødningsepisoder og til forebyggelse af blødning under operation. Når Nuwiq blev anvendt til forebyggelse af blødning, havde hver patient gennemsnitligt 0,19 blødning pr. måned. Ved behandling af blødningsepisoder blev Nuwiq hovedsagelig bedømt som "udmærket" eller "godt" til behandling af større blødningsepisoder, og de fleste blødningsepisoder svandt efter en eller flere indsprøjtninger med Nuwiq. Ved de fem operationer, der blev udført i løbet af undersøgelsen, blev Nuwiq bedømt som udmærket til at forebygge blødningsepisoder i fire operationer og som nogenlunde til at forebygge blødning i én operation.

Den tredje undersøgelse omfattede 59 børn i alderen 2-12 år. Når Nuwiq blev anvendt til forebyggelse af blødning, var der gennemsnitligt 0,34 blødning pr. måned for hvert barn. Når det blev anvendt til behandling af blødning, svandt blødningerne i 81 % af tilfældene efter en eller to indsprøjtninger med Nuwiq.

## Hvilke risici er der forbundet med Nuwiq?

Der er indberettet allergiske reaktioner over for faktor VIII-lægemidler, som i visse tilfælde kan være alvorlige.

Der er desuden den risiko ved faktor VIII-lægemidler, at visse patienter danner antistoffer (inhibitorer) mod faktor VIII, hvilket medfører, at lægemidlet ikke længere virker, og kontrollen med blødning svigter. I så fald bør man kontakte en specialafdeling for hæmofili.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Nuwiq fremgår af indlægssedlen.

## Hvorfor blev Nuwiq godkendt?

CHMP konkluderede, at fordelene ved Nuwiq opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU. Agenturet besluttede, at det er påvist, at Nuwiq er effektivt til at behandle og forebygge blødning hos patienter med hæmofili A og har en acceptabel sikkerhedsprofil.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Nuwiq?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Nuwiq.

### Andre oplysninger om Nuwiq

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Nuwiq den 24. juli 2014.

Den fuldstændige EPAR for Nuwiq findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Nuwiq, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 10-2017.