



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/212538/2017
EMEA/H/C/004178

EPAR - sammendrag for offentligheden

Refixia

nonacog beta pegol

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Refixia. 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 Refixia bør anvendes.

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

Hvad er Refixia, og hvad anvendes det til?

Refixia er et lægemiddel til behandling og forebyggelse af blødning hos patienter med den arvelige blødningsforstyrrelse hæmofili B, der skyldes mangel på proteinet faktor IX, som medvirker ved blodets størkning (koagulation). Det kan anvendes hos voksne og børn over 12 år.

Refixia indeholder det aktive stof nonacog beta pegol.

Hvordan anvendes Refixia?

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

Refixia fås som et pulver med opløsningsvæske (solvens), der blandes til en opløsning, som gives ved injektion i en vene. Dosis og hyppighed af behandlingen afhænger af, om Refixia anvendes til at behandle eller forebygge blødning eller til at nedsætte blødning under operation, blødningens omfang og placering og patientens legemsvægt. Yderligere oplysninger om anvendelsen af dette lægemiddel fremgår af produktresuméet, der ligeledes er en del af EPAR.

Patienten eller dennes omsorgsgiver kan selv injicere Refixia i hjemmet efter at have fået passende oplæring. De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.



Hvordan virker Refixia?

Patienter med hæmofili B mangler proteinet faktor IX, der er nødvendigt for blodets normale størkning; derfor får de let blødninger. Det aktive stof i Refixia, nonacog beta pegol, virker på samme måde i kroppen som kroppens egen faktor IX. Det erstatter den manglende faktor IX og medvirker derved til blodets størkning, så der opnås midlertidig kontrol med blødningen.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Refixia?

Refixia er påvist at være effektivt både til at behandle blødningsepisoder og til at holde antallet af episoder lavt.

I en undersøgelse med 74 voksne og unge over 13 år fik 29 patienter, der fik Refixia som forebyggende behandling, ca. 1 blødningsepisode om året, mens 15 patienter, der fik Refixia til behandling af blødning efter behov, fik omkring 16 blødningsepisoder om året. Når blødning forekom, blev Refixia bedømt til at være fremragende eller godt til behandling af omkring 92 % af blødningsepisoderne. 87 % af blødningsepisoderne svandt med én injektion af Refixia.

I den anden undersøgelse hos 25 børn under 13 år fik alle patienter Refixia som forebyggende behandling én gang om ugen. Patienterne fik omkring 1 blødningsepisode om året, og Refixia blev bedømt som fremragende eller godt til at behandle omkring 93 % af blødningsepisoderne. Omkring 86 % af blødningsepisoderne svandt med én indsprøjtning.

Hvilke risici er der forbundet med Refixia?

Overfølsomhedsreaktioner (allergiske reaktioner) er ikke almindelige med Refixia (kan forekomme hos op til 1 ud af 100 patienter) og kan bestå i: hævelse, brænden og stikken på injektionsstedet, kulderystelser, rødme, kløende udslæt, hovedpine, nældefeber, lavt blodtryk, sløvhed, kvalme og opkastning, rastløshed, hurtig hjerterytme, trykken for brystet og hiven efter vejret. I nogle tilfælde kan disse reaktioner blive alvorlige.

Nogle patienter, der får lægemidler med faktor IX, kan udvikle antistoffer (inhibitorer) mod faktor IX, hvilket medfører, at medicinen ikke længere virker og blødningskontrollen derved mistes. Faktor IX-medicin kan også medføre problemer på grund af dannelsen af blodpropper i blodårerne.

Refixia må ikke anvendes hos patienter med allergi over for hamsterproteiner. Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Refixia godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede, at fordelene ved Refixia opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU.

Undersøgelser viser, at Refixia er effektivt til at forebygge og behandle blødningsepisoder hos patienter med hæmofili B, og dets sikkerhed er sammenlignelig med andre faktor IX-produkter. Efter langvarig behandling kan en del af det aktive stof i Refixia ("PEG") imidlertid ophobes i kroppen, herunder i årenettet (plexus chorioideus) i hjernen. Da dette kan tænkes at medføre problemer, især hos børn under 12 år, er Refixia kun godkendt til voksne og børn over 12 år.

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

Virksomheden, der markedsfører Refixia, skal gennemføre en undersøgelse af de mulige virkninger af PEG-ophobning i hjernens plexus chorioideus og andre organer.

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

Andre oplysninger om Refixia

Den fuldstændige EPAR for Refixia 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 Refixia, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.