



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Refixia

Nonacog beta pegol

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Refixia. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Refixia zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Refixia benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Refixia und wofür wird es angewendet?

Refixia ist ein Arzneimittel zur Behandlung und Vorbeugung von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie B, einer durch den Mangel an einem Gerinnungsprotein, dem sogenannten Faktor IX, bedingten, angeborenen Blutgerinnungsstörung. Das Arzneimittel kann bei Erwachsenen und Kindern ab 12 Jahren angewendet werden.

Refixia enthält den Wirkstoff Nonacog beta pegol.

Wie wird Refixia angewendet?

Refixia ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte unter Aufsicht eines in der Hämophilie-Behandlung erfahrenen Arztes erfolgen.

Refixia ist als Pulver und Flüssigkeit erhältlich, die zur Herstellung einer intravenösen Injektionslösung gemischt werden. Dosis und Häufigkeit der Behandlung sind davon abhängig, ob Refixia zur Behandlung oder Vorbeugung von Blutungen oder zur Verringerung von Blutungen bei chirurgischen Eingriffen eingesetzt wird, und richten sich außerdem nach dem Ausmaß und Ort der Blutung sowie dem Körpergewicht des Patienten. Weitere Informationen zur Anwendung dieses Arzneimittels sind der Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels zu entnehmen (ebenfalls Teil des EPAR).



Nach entsprechender Schulung können Patienten bzw. ihre Pflegekräfte sich bzw. ihren Patienten Refixia zu Hause selbst verabreichen. Vollständige Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wie wirkt Refixia?

Patienten mit Hämophilie B mangelt es an Faktor IX, einem Protein, das für die normale Blutgerinnung erforderlich ist. Infolgedessen treten bei ihnen schnell Blutungen auf. Der Wirkstoff in Refixia, Nonacog beta pegol, wirkt im Körper auf die gleiche Weise wie der humane Faktor IX. Er ersetzt den fehlenden Faktor IX und unterstützt damit die Blutgerinnung und ermöglicht eine vorübergehende Kontrolle von Blutungen.

Welchen Nutzen hat Refixia in den Studien gezeigt?

Refixia hat sich sowohl bei der Behandlung von Blutungsepisoden als auch dabei, die Anzahl der Episoden gering zu halten, als wirksam erwiesen.

In einer Studie, an der 74 Erwachsene und Jugendliche im Alter ab 13 Jahren teilnahmen, wiesen 29 Patienten, die Refixia als wöchentliche Behandlung zur Vorbeugung erhielten, rund eine Blutungsepisode pro Jahr auf; 15 Patienten, die Refixia zur Behandlung von Blutungen „nach Bedarf“ erhielten, wiesen rund 16 Blutungsepisoden pro Jahr auf. Darüber hinaus wurde Refixia bei Auftreten einer Blutung als hervorragend oder gut bei der Behandlung von etwa 92 % der Blutungsepisoden eingestuft. Insgesamt 87 % der Blutungsepisoden konnten mit einer einzigen Injektion gestoppt werden.

In der zweiten Studie, an der 25 Kinder im Alter von unter 13 Jahren teilnahmen, erhielten alle Patienten Refixia als wöchentliche Behandlung zur Vorbeugung. Die Patienten wiesen rund eine Blutungsepisode pro Jahr auf und Refixia wurde als hervorragend oder gut bei der Behandlung von etwa 93 % der Blutungsepisoden eingestuft. Ungefähr 86 % der Blutungsepisoden konnten mit einer einzigen Injektion gestoppt werden.

Welche Risiken sind mit Refixia verbunden?

Überempfindlichkeitsreaktionen (allergische Reaktionen) können im Zusammenhang mit Refixia gelegentlich auftreten (diese können bis zu 1 von 100 Personen betreffen). Sie können umfassen: Schwellungen, brennendes und stechendes Gefühl an der Injektionsstelle, Schüttelfrost, Hitzegefühl, juckender Hautausschlag, Kopfschmerzen, Nesselsucht, niedriger Blutdruck, Lethargie, Nausea (Übelkeit) und Erbrechen, Unruhe, beschleunigter Herzschlag, Engegefühl im Brustbereich und Giemen (Atemgeräusche). In einigen Fällen können diese Reaktionen schwerwiegend werden.

Einige Patienten, die Faktor-IX-Arzneimittel anwenden, entwickeln unter Umständen Inhibitoren (Antikörper) gegen den Faktor IX. Dies führt dazu, dass das Arzneimittel nicht mehr wirkt und es zu einem Verlust der Blutungskontrolle kommt. Faktor-IX-Arzneimittel können auch potenziell zu Problemen aufgrund der Bildung von Blutgerinnseln in den Blutgefäßen führen.

Refixia darf nicht bei Patienten angewendet werden, die überempfindlich (allergisch) gegen Hamsterproteine sind. Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Refixia zugelassen?

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Refixia gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen.

In Studien wurde gezeigt, dass Refixia bei der Vorbeugung und Behandlung von Blutungsepisoden bei Patienten mit Hämophilie B wirksam und seine Sicherheit mit jener anderer Faktor-IX-Arzneimittel vergleichbar ist. Allerdings kann sich nach einer Langzeitbehandlung ein Teil des Wirkstoffs in Refixia (genannt PEG) im Körper anreichern, einschließlich in einer Struktur im Gehirn, die als Plexus choroideus bezeichnet wird. Da dies besonders bei Kindern im Alter von unter 12 Jahren möglicherweise zu Problemen führen kann, ist Refixia nur zur Anwendung bei Erwachsenen und Kindern ab einem Alter von 12 Jahren zugelassen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Refixia ergriffen?

Das Unternehmen, das Refixia in Verkehr bringt, wird eine Studie zur Untersuchung der potenziellen Auswirkungen einer Anreicherung von PEG im Plexus choroideus des Gehirns und in anderen Organen durchführen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Refixia, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Refixia

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Refixia finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Refixia benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.