



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Refixia

nonakogibeetapegoli

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Refixia-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa ja suositukseen sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Refixian käytöstä.

Potilas saa Refixian käyttöä koskevaa tietoa pakkauselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Refixia on ja mihin sitä käytetään?

Refixia-valmistetta käytetään verenvuotojen hoitoon ja estämiseen hemofilia B -potilailla (synnynnäinen verenvuotosairaus, joka johtuu hyytymistekijä IX:n puutteesta). Sitä voidaan antaa aikuisille ja vähintään 12-vuotiaalle lapsille.

Refixian vaikuttava aine on nonakogibeetapegoli.

Miten Refixiaa käytetään?

Refixiaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoito pitää aloittaa hemofilian hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Refixiaa on saatavana kuiva-aineena ja nesteinä, joista valmistetaan laskimoon annettava injektio-liuos. Annos ja hoidon toistoväli riippuvat siitä, käytetäänkö Refixiaa verenvuodon hoitamiseen vai sen estämiseen vai verenvuodon vähentämiseen kirurgisen toimenpiteen aikana, verenvuodon laajuudesta ja vuotokohdasta sekä potilaan painosta. Lisätietoja tämän lääkkeen käytöstä on valmisteyhteenvedossa (sisältyy myös EPAR-lausuntoon).

Potilaat tai heidän hoitajansa voivat injektoida Refixiaa itse saatuaan sitä varten asianmukaista opastusta. Tarkempaa tietoa on pakkauselosteessa.



Miten Refixia vaikuttaa?

Hemofilia B:tä sairastavilla potilailla on hyytymistekijä IX:n puute. Se on proteiini, jota tarvitaan veren normaaliin hyytymiseen, ja sen puuttuessa verta vuotaa helposti. Refixian vaikuttava aine, nonakogibeetapegoli, vaikuttaa kehossa samalla tavalla kuin ihmisen veren hyytymistekijä IX. Se korvaa puuttuvan hyytymistekijä IX:n ja auttaa siten verta hyytymään, jolloin verenvuoto saadaan väliaikaisesti hallintaan.

Mitä hyötyä Refixiasta on havaittu tutkimuksissa?

Refixian on osoitettu olevan tehokas sekä verenvuotojen hoidossa että verenvuotojen määrän vähentämisessä.

Tutkimuksessa, johon osallistui 74 aikuista ja vähintään 13-vuotiasta nuorta, 29 potilaalla, joille annettiin Refixiaa viikoittain ehkäisevänä hoitona, oli noin yksi vuoto vuodessa, ja 15 potilaalla, joille Refixiaa annettiin vuotojen hoitoon tarpeen mukaan, oli noin 16 vuotoa vuodessa. Lisäksi kun vuotoja esiintyi, Refixian hoitovaikutusta pidettiin erinomaisena tai hyvänä noin 92 prosentissa vuodoista. 87 % vuodoista parani yhdellä Refixia-injektiolla.

Toisessa tutkimuksessa, jossa oli mukana 25 alle 13-vuotiasta potilasta, kaikille potilaille annettiin Refixiaa viikoittain ehkäisevänä hoitona. Potilailla oli noin yksi vuoto vuodessa, ja Refixian hoitovaikutusta pidettiin erinomaisena tai hyvänä noin 93 prosentissa vuodoista. Noin 86 % vuodoista parani yhdellä Refixia-injektiolla.

Mitä riskejä Refixiaan liittyy?

Yliherkkyysoireet (allergiset reaktiot) ovat melko harvinaisia (niitä saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle sadasta) Refixian käytön yhteydessä. Niiden oireita ovat pistoskohdan turvotus, polttelu ja pistely, vilunväreet, punoitus, kutiava ihottuma, päänsärky, nokkosihottuma, alhainen verenpaine, letargia, pahoinvointi ja oksentelu, levottomuus, nopea syke, puristuksen tunne rinnassa ja hengityksen vinkuminen. Nämä reaktiot voivat joissakin tapauksissa kehittyä vaikeiksi.

Joillakin potilailla hyytymistekijä IX -lääkkeet saattavat aiheuttaa hyytymistekijä IX:n vasta-aineiden kehittymistä, jolloin lääke ei enää tehoa eikä verenvuoto pysy hallinnassa. Hyytymistekijä IX -lääkkeet voivat aiheuttaa myös ongelmia, jotka johtuvat hyytymien muodostumisesta verisuonissa.

Refixiaa ei saa antaa potilaille, jotka ovat allergisia hamsterin proteiineille. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Refixia on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Refixian hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

Tutkimukset osoittavat, että Refixia on tehokas hemofilia B -potilaiden verenvuotojen ehkäisyssä ja hoidossa, ja että sen turvallisuus on verrattavissa muihin hyytymistekijä IX -valmisteisiin. Osa Refixian vaikuttavasta aineesta (nimeltään PEG) voi kuitenkin pitkäaikaisen käytön seurauksena kertyä elimistöön, myös aivojen suonipunos-nimiseen rakenteeseen. Koska tämä voi mahdollisesti aiheuttaa ongelmia etenkin alle 12-vuotiaille lapsille, Refixia on hyväksytty vain aikuisten ja vähintään 12-vuotiaiden lasten hoitoon.

Miten voidaan varmistaa Refixian turvallinen ja tehokas käyttö?

Refixiaa markkinoiva yhtiö tekee tutkimuksen, jossa tutkitaan PEG:n aivojen suonipunokseen ja muihin elimiin kertymisen mahdollisia vaikutuksia.

Suosituksset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Refixian käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen

Muita tietoja Refixiasta

Refixiaa koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lisää tietoa Refixialla annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.