



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Refixia

nonakog beta pegol

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) lijeka Refixia. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Refixia.

Praktične informacije o primjeni lijeka Refixia bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno obratiti se svom liječniku ili ljekarniku.

Što je Refixia i za što se koristi?

Refixia je lijek koji se koristi za liječenje i sprečavanje krvarenja u bolesnika s hemofilijom B, nasljednim poremećajem krvarenja uzrokovanim manjkom bjelančevine za zgrušavanje naziva faktor IX. Može se koristiti u odraslih i djece starije od 12 godina.

Lijek Refixia sadržava djelatnu tvar nonakog beta pegol.

Kako se Refixia koristi?

Lijek Refixia izdaje se samo na liječnički recept, a liječenje mora biti pod nadzorom liječnika s iskustvom u liječenju hemofilije.

Lijek Refixia dostupan je u obliku praška i tekućine koji se miješaju kako bi se pripremila otopina za intravensku injekciju. Doza i učestalost liječenja ovise o tome primjenjuje li se lijek Refixia za liječenje ili sprečavanje krvarenja, ili za smanjenje krvarenja tijekom operacije te o opsegu i lokaciji krvarenja i bolesnikovoj tjelesnoj težini. Dodatne informacije o načinu uporabe ovog lijeka pročitajte u sažetku opisa svojstava lijeka (također dio EPAR-a).

Nakon odgovarajuće obuke, bolesnici ili njihovi njegovatelji mogu samostalno primjenjivati lijek Refixia kod kuće. Za potpune informacije vidjeti uputu o lijeku.



Kako djeluje lijek Refixia?

Bolesnicima s hemofilijom B nedostaje faktor IX, bjelančevina potrebna za normalno zgrušavanje krvi, i stoga lako krvare. Djelatna tvar u lijeku Refixia, nonakog beta pegol, u tijelu djeluje na isti način kao ljudski faktor IX. Zamjenjuje faktor IX koji nedostaje te time pomaže pri zgrušavanju krvi i omogućava privremenu kontrolu krvarenja.

Koje su koristi lijeka Refixia dokazane u ispitivanjima?

Pokazalo se da je lijek Refixia učinkovit i u liječenju epizoda krvarenja i u održavanju niske razine takvih epizoda.

U ispitivanju koje je uključivalo 74 odrasle osobe i adolescenta u dobi od 13 ili više godina, 29 bolesnika kojima se davao lijek Refixia kao preventivna terapija na tjednoj osnovi imalo je otprilike jednu epizodu krvarenja godišnje, dok je 15 bolesnika kojima se lijek Refixia davao za liječenje krvarenja na zahtjev imalo otprilike 16 epizoda krvarenja godišnje. Osim toga, u slučajevima pojave krvarenja, lijek Refixia ocijenjen je izvrsnim ili dobrim pri liječenju otprilike 92 % epizoda krvarenja. Epizoda krvarenja zaustavljena je jednom injekcijom lijeka Refixia u 87 % slučajeva.

U drugom ispitivanju koje je uključivalo 25 djece mlađe od 13 godina, lijek Refixia svim je bolesnicima davan kao tjedna preventivna terapija. Bolesnici su imali otprilike jednu epizodu krvarenja godišnje, a lijek Refixia ocijenjen je izvrsnim ili dobrim pri liječenju otprilike 93 % epizoda krvarenja. Epizoda krvarenja zaustavljena je jednom injekcijom lijeka u otprilike 86 % slučajeva.

Koji su rizici povezani s lijekom Refixia?

Reakcije preosjetljivosti (alergijske reakcije) mogu se rijetko javiti pri primjeni lijeka Refixia (mogu se javiti u do 1 na 100 bolesnika), a uključuju: oticanje, žarenje i peckanje na mjestu injekcije, zimicu, navalu crvenila, osip praćen svrbežom, glavobolju, koprivnjaču, nizak krvni tlak, letargiju, mučninu i povraćanje, nemir, brzo kucanje srca, stezanje u prsima i piskanje pri disanju. U nekim slučajevima te reakcije mogu postati ozbiljne.

Kod nekih bolesnika koji uzimaju lijekove za nadomjestak faktora IX mogu se razviti inhibitori (protutijela) faktora IX koji onemogućuju djelovanje lijeka i dovode do gubitka kontrole nad krvarenjem. Lijekovi za nadomjestak faktora IX također mogu potencijalno prouzročiti probleme zbog stvaranja krvnih ugrušaka u krvnim žilama.

Lijek Refixia također se ne smije upotrebljavati u bolesnika koji su alergični na bjelančevine hrčka. Potpuni popis nuspojava i ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Refixia odobren?

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji odlučio je da koristi lijeka Refixia nadmašuju s njime povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za primjenu u Europskoj uniji.

Ispitivanja pokazuju da je lijek Refixia učinkovit u sprečavanju i liječenju epizoda krvarenja u bolesnika s hemofilijom B te da je njegova sigurnost usporediva sa sigurnošću drugih lijekova za liječenje manjka faktora IX. Međutim, dio djelatne tvari u lijeku Refixia (koji se naziva PEG) može se nakupljati u tijelu, uključujući u strukturi u mozgu koja se naziva koroidni splet, nakon dugotrajnog liječenja. Budući da to može potencijalno uzrokovati probleme, osobito u djece mlađe od 12 godina, lijek Refixia odobrava se za primjenu samo u odraslih i djece starije od 12 godina.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Refixia?

Tvrtka koja stavlja u promet lijek Refixia provest će ispitivanje u cilju ispitivanja potencijalnih učinaka nakupljanja PEG-a u koroidnom spletu mozga i drugim organima.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Refixia nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Ostale informacije o lijeku Refixia

Cjeloviti EPAR za lijek Refixia nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o liječenju lijekom Refixia pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svojem liječniku ili ljekarniku.