



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

### Refixia

#### nonacog beta pegol

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Refixia. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Refixia.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Refixia, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

### O que é o Refixia e para que é utilizado?

O Refixia é um medicamento utilizado para o tratamento e prevenção de hemorragias em doentes com hemofilia B, uma doença hemorrágica hereditária causada pela deficiência de uma proteína de coagulação denominada fator IX. O Refixia pode ser utilizado em adultos e adolescentes a partir dos 12 anos de idade.

O Refixia contém a substância ativa nonacog beta pegol.

### Como se utiliza o Refixia?

O Refixia só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser feito sob a supervisão de um médico com experiência no tratamento da hemofilia.

O Refixia está disponível na forma de um pó e um líquido, que são misturados para preparar uma solução injetável para administração numa veia. A dose e a frequência do tratamento com Refixia dependem da sua finalidade (tratamento ou prevenção de hemorragias ou sua redução durante a cirurgia), da extensão e localização da hemorragia e do peso corporal do doente. Para mais informações sobre a utilização deste medicamento, consulte o Resumo das Características do Medicamento (também parte do EPAR).



Os doentes ou os seus prestadores de cuidados poderão eles próprios administrar a injeção de Refixia em casa depois de receberem formação adequada. Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

## **Como funciona o Refixia?**

Os doentes com hemofilia B têm falta do fator IX, uma proteína necessária para a coagulação normal do sangue, pelo que sangram facilmente. A substância ativa do Refixia, o nonacog beta pegol, atua no organismo do mesmo modo que o fator IX humano. Substitui o fator IX em falta, ajudando, desta forma, o sangue a coagular e permitindo um controlo temporário da hemorragia.

## **Quais os benefícios demonstrados pelo Refixia durante os estudos?**

O Refixia mostrou ser eficaz tanto no tratamento de episódios de hemorragia como na manutenção de um número baixo de episódios.

Num estudo envolvendo 74 adultos e adolescentes com idade igual ou superior a 13 anos, 29 doentes que receberam Refixia como tratamento preventivo semanal tiveram aproximadamente 1 episódio de hemorragia por ano e 15 doentes que receberam Refixia num tratamento de hemorragias quando necessário apresentaram cerca de 16 episódios hemorrágicos por ano. Adicionalmente, quando ocorreu hemorragia, o Refixia foi avaliado como excelente ou bom a tratar aproximadamente 92 % dos episódios hemorrágicos. 87 % dos episódios hemorrágicos foram resolvidos com uma injeção de Refixia.

No segundo estudo com 25 crianças menores de 13 anos, todos os doentes receberam Refixia como tratamento preventivo semanal. Os doentes tiveram aproximadamente 1 episódio de hemorragia por ano e o Refixia foi avaliado como excelente ou bom a tratar aproximadamente 93 % dos episódios hemorrágicos. Cerca de 86 % dos episódios hemorrágicos foram resolvidos com uma injeção de Refixia.

## **Quais são os riscos associados ao Refixia?**

As reações de hipersensibilidade (alérgicas) ao Refixia são pouco frequentes (podem afetar até 1 em cada 100 pessoas) e podem incluir inchaço, ardor e picadas no local de injeção, arrepios, rubor, erupção na pele acompanhada de comichão, dores de cabeça, urticária, tensão arterial baixa, letargia, náuseas e vômitos, agitação, batimento rápido do coração, aperto no peito e respiração sibilante. Em alguns casos, estas reações podem tornar-se graves.

Alguns doentes tratados com medicamentos com fator IX podem desenvolver inibidores (anticorpos) contra o fator IX o que leva a uma perda de eficácia do medicamento, com a consequente perda do controlo hemorrágico. Os medicamentos com fator IX podem também causar problemas devido à formação de coágulos de sangue nos vasos sanguíneos.

O Refixia é contra-indicado em doentes com alergia às proteínas de hamster. Para a lista completa dos efeitos secundários e restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

## **Por que foi aprovado o Refixia?**

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Refixia são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE.

Os estudos demonstram que o Refixia é eficaz na prevenção e no tratamento de episódios hemorrágicos em doentes com hemofilia B e a sua segurança é comparável à de outros medicamentos

com fator IX. No entanto, parte da substância ativa de Refixia (chamada PEG) pode acumular-se no corpo, incluindo numa estrutura cerebral chamada plexo coroídeo, na sequência de um tratamento de longo prazo. Considerando que isto poderá causar problemas em especial em crianças abaixo dos 12 anos de idade, o Refixia está apenas aprovado para adultos e adolescentes a partir dos 12 anos de idade.

### **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Refixia?**

A empresa que comercializa o Refixia irá realizar um estudo para investigar os efeitos potenciais da acumulação de PEG no plexo coroídeo do cérebro e noutros órgãos.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Refixia.

### **Outras informações sobre o Refixia**

O EPAR completo relativo ao Refixia pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Refixia, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.