



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Refixia

nonakog beta pegol

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Refixia. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Refixia ska användas.

Praktisk information om hur Refixia ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Refixia och vad används det för?

Refixia är ett läkemedel som används för att behandla och förebygga blödning hos patienter med hemofili B, en ärftlig blödningssjukdom som beror på brist på ett koagulationsprotein som kallas faktor IX. Det kan användas till vuxna och ungdomar från 12 års ålder.

Refixia innehåller den aktiva substansen nonakog beta pegol.

Hur används Refixia?

Refixia är receptbelagt och behandling ska inledas under överinseende av läkare som har erfarenhet av att behandla hemofili.

Refixia tillhandahålls i form av ett pulver och en vätska som blandas till en injektionsvätska, lösning för injektion i en ven. Dosen och behandlingsfrekvensen beror på om Refixia används för att behandla eller förebygga blödning, eller för att minska blödning under kirurgi, hur mycket och var det blöder och patientens kroppsvikt. Mer information om hur man använder Refixia finns i produktresumén (ingår också i EPAR).

Patienter eller deras vårdare kan själva ge Refixia hemma efter att de fått lämplig utbildning. Fullständig information finns i bipacksedeln.



Hur verkar Refixia?

Patienter med hemofili B saknar faktor IX, ett protein som behövs för att blodet ska kunna koagulera normalt, och har därför lätt för att blöda. Den aktiva substansen i Refixia, nonakog beta pegol, verkar i kroppen på samma sätt som human faktor IX. Den ersätter den saknade faktor IX, hjälper blodet att koagulera och ger tillfällig kontroll över blödningen.

Vilken nytta med Refixia har visats i studierna?

Refixia har visat sig vara effektivt både när det gäller att behandla blödningsepisoder och hålla nere antalet episoder.

I en studie på 74 vuxna och ungdomar från 13 års ålder, hade 29 patienter som fick Refixia som förebyggande behandling varje vecka omkring 1 blödningsepisod om året, medan 15 patienter som fick Refixia för behandling av blödningar "vid behov" hade omkring 16 blödningsepisoder om året. Refixia fick dessutom bedömningen utmärkt eller god vid behandling av omkring 92 procent av blödningsepisoderna när blödning inträffade. 87 procent av blödningsepisoderna upphörde vid en injektion med Refixia.

I den andra studien på 25 barn under 13 års ålder, fick alla patienter Refixia som förebyggande behandling varje vecka. Patienterna hade omkring 1 blödningsepisod om året och Refixia fick bedömningen utmärkt eller god vid behandling av omkring 93 procent av blödningsepisoderna. Omkring 86 procent av blödningsepisoderna upphörde vid en injektion.

Vilka är riskerna med Refixia?

Överkänslighetsreaktioner (allergiska) är mindre vanliga med Refixia (kan uppträda hos upp till 1 av 100 patienter) och inkluderar svullnad, sveda och smärta på injektionsstället, frossa, blodvallningar, kliande utslag, huvudvärk, nässelutslag, lågt blodtryck, letargi, illamående och kräkning, rastlöshet, hjärtklappning, trånghet i bröstet och väsande andning. I vissa fall kan dessa reaktioner bli allvarliga.

Vissa patienter som tar faktor IX-läkemedel kan utveckla hämmande substanser (antikroppar) mot faktor IX, vilket leder till att läkemedlet slutar verka med förlorad blödningskontroll som följd. Faktor IX-läkemedel kan även potentiellt orsaka problem på grund av att det bildas blodproppar i blodkärlen.

Refixia får inte ges till patienter som är allergiska mot hamsterproteiner. En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Refixia?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Refixia är större än riskerna och rekommenderade att Refixia skulle godkännas för försäljning i EU.

Studier visar att Refixia är effektivt vid förebyggande och behandling av blödningsepisoder hos patienter med hemofili B och att dess säkerhet är jämförbar med den för andra faktor IX-produkter. En viss del av den aktiva substansen i Refixia (kallas PEG) kan dock ansamlas i kroppen efter långvarig behandling, bland annat i en struktur i hjärnan som kallas plexus choroideus. Eftersom detta potentiellt skulle kunna ge problem hos i synnerhet barn under 12 års ålder, är Refixia bara godkänt för användning till vuxna och barn från 12 års ålder.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Refixia?

Företaget som marknadsför Refixia kommer att utföra en studie för att undersöka de potentiella effekterna av PEG-ansamling i plexus choroideus i hjärnan och andra organ.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Refixia har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Övrig information om Refixia

EPAR för Refixia finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Refixia finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.