



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/319898/2023
EMA/H/C/004178

Refixia (*beetanonakogpegool*)

Ülevaade ravimist Refixia ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Refixia ja milleks seda kasutatakse?

Refixia on ravim, mida kasutatakse verejooksude raviks ja ennetamiseks B-hemofiiliaga (IX hüübimisfaktori vaegusest tingitud pärilik hüübimishäire) patsientidel. IX hüübimisfaktor on valk, mida on vaja vere hüübimisel verejooksu peatamiseks.

Refixia sisaldab toimeainet beetanonakogpegooli.

Kuidas Refixiat kasutatakse?

Refixia on retseptiravim. Ravi peab toimuma hemofilia ravis kogenud arsti järelevalve all.

Refixiat manustatakse veenisüstena. Annus ja manustamissagedus sõltuvad sellest, kas Refixiat kasutatakse verejooksude ravimiseks või ennetamiseks või verejooksu vähendamiseks operatsiooni ajal, samuti verejooksu raskusest ja asukohast ning patsiendi kehamassist.

Patsiendid või nende hooldajad tohivad süstida Refixiat ise kodus, kui nad on saanud asjakohase väljaõppe. Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

Lisateavet Refixia kasutamise kohta saate pakendi infolehelt või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Refixia toimib?

B-hemofiiliaga patsientidel puudub IX hüübimisfaktor, mis on vere normaalseks hüübimiseks vajalik valk. Selle tulemusena tekib neil kergesti verejooks. Refixia toimeaine beetanonakogpegool toimib organismis samamoodi nagu inimese IX hüübimisfaktor. See asendab puuduvat IX hüübimisfaktorit, aidates verel hüübida ja verejooksu ajutiselt peatada.

Mis on uuringute põhjal Refixia kasulikkus?

On tõendatud, et Refixia on efektiivne verejooksuepisoodide ravis ja nende arvu vähendamisel.

Uuringus, milles osales 74 täiskasvanut ja vähemalt 13-aastast noorukit, esines 29 patsiendil, kellele manustati Refixiat igapäevase ennetava ravina, ligikaudu 1 verejooksuepisood aastas ning

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



15 patsiendil, kellele manustati Refixiat verejooksude raviks vajaduse korral, esines ligikaudu 16 verejooksuepisoodi aastas. Verejooksu esinemisel hinnati Refixia ravitoime ligikaudu 92% verejooksuepisoodide korral suurepäraseks või heaks. 87% verejooksuepisoodidest lahenes Refixia ainsa süstega.

Teises uuringus, milles osales 25 alla 13-aastast last, keda varem raviti muude IX hüübimisfaktori ravimitega, manustati kõigile patsientidele iganädalase ennetava ravina Refixiat. Pärast üheaastast ravi esines patsientidel ligikaudu 1 verejooksuepisood aastas. Ligikaudu 93% verejooksuepisoodide ravimisel hinnati Refixiat suurepäraseks või heaks. Ligikaudu 86% verejooksuepisoodidest lahenes Refixia ainsa süstega. Uuringus esitati ka andmed Refixia pikaajalise kasutamise kohta. Kuni 8-aastase ravi ajal Refixiaga oli keskmine verejooksusagedus 0,9 verejooksu aastas. Ligikaudu 89% verejooksuepisoodide ravimisel hinnati Refixiat suurepäraseks või heaks. Ligikaudu 82% verejooksuepisoodidest lahenes ühe Refixia süstega.

Kolmandas uuringus, milles osales 50 alla 7-aastast last, keda ei olnud varem ravitud muude IX hüübimisfaktori ravimitega, manustati Refixiat iganädalase ennetava ravina. Kuni 6-aastase ravi ajal Refixiaga oli keskmine verejooksusagedus 0,7 verejooksu aastas. Ligikaudu 96% verejooksuepisoodide ravimisel hinnati Refixiat suurepäraseks või heaks. Ligikaudu 91% verejooksuepisoodidest lahenes ühe Refixia süstega.

Mõlema laste uuringu tulemused tõendasid samuti, et pärast ligikaudu 6-aastast ravi Refixiaga saavutasid patsiendid stabiilse IX hüübimisfaktori taseme, mis oli kerge hemofiiliaga patsientidel eeldatavas vahemikus.

Mis on Refixia riskid?

Refixia kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Ülitundlikkusreaktsioonid (allergiareaktsioonid) esinevad Refixia korral aeg-ajalt (võivad esineda kuni 1 patsiendil 100st) ning need on näiteks süstekoha turse või põletus- ja torkimistunne, külmavärinad, õhetus, sügelev lööve, peavalu, nõgeslööve, madal vererõhk, letargia, iiveldus ja oksendamine, rahutus, kiirenenud südametegevus, rõhumistunne rinnus ning vilistav hingamine. Mõnel juhul võivad need reaktsioonid olla rasked.

Mõnel IX hüübimisfaktorit sisaldavaid ravimeid kasutaval patsiendil võivad tekkida IX hüübimisfaktori vastased inhibiitorid (antikehad), mis peatavad ravimi toime, nii et see enam ei peata verejookse. IX hüübimisfaktorit sisaldavad ravimid võivad põhjustada ka probleeme trombide (soonesiseste verehüüvete) tekke tõttu.

Refixiat ei tohi kasutada patsiendid, kes on allergilised beetanonakogepooli või ravimi mis tahes koostisosa suhtes, ega patsiendid, kellel on teadaolev allergia hamstrivalkude suhtes.

Miks Refixia heaks kiideti?

Euroopa Raviamet otsustas, et Refixia kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Uuringud tõendavad, et Refixia on efektiivne verejooksuepisoodide ennetamisel ja ravis B-hemofiiliaga patsientidel ning selle ohutus on võrreldav teiste IX hüübimisfaktori ravimite ohutusega. Samas võib Refixia toimeaine teatud osa (PEG) pikaajalisel ravil hakata kogunema organismis, sealhulgas peaaegu soonepõimikus.

Refixia pikaajalisel kasutamisel alla 13-aastastel lastel vähenes verejooksude sagedus aastas madalale tasemele. Lisaks leiti, et Refixial on kaitsev toime verejooksuepisoodide vastu, tekitades stabiilse IX hüübimisfaktori taseme alla 13-aastastel lastel, kellele manustati ravimit verejooksu ennetamiseks. Refixia ei olnud varem heaks kiidetud alla 12-aastastel lastel, sest esines polüetüleenglükooli kogunemise probleeme väikelastel. Uuringutest saadud põhjalikud andmed, sealhulgas pikaajalise kasutamise andmed, ei ole tõendanud seost kõrvalmõjudega närvisüsteemile PEGi kogunemise tõttu.

Mis meetmed võetakse, et tagada Refixia ohutu ja efektiivne kasutamine?

Refixia turustaja korraldab uuringu, milles jälgib peaaegu soonepõimikus ja muudes elundites PEGi kogunemise võimalikku mõju.

Refixia ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Muu teave Refixia kohta

Refixia müügiluba, mis kehtib kogu Euroopa Liidus, anti 2. juunil 2017.

Lisateave Refixia kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/refixia

Kokkuvõtte viimane uuendus: 07-2023.