



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267630/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*hydrokortisoni*)

Yleistiedot Efmody-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Efmody on ja mihin sitä käytetään?

Efmody on lääke, jolla hoidetaan vähintään 12-vuotiaiden potilaiden lisämunuaisten synnynnäistä liikakasvua, joka on perinnöllinen sairaus.

Lisämunuaisten liikakasvu on harvinainen sairaus, ja Efmody nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 27. heinäkuuta 2005. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Efmodyn vaikuttava aine on hydrokortisoni, ja se on ns. hybridilääke. Tämä tarkoittaa, että se on samankaltainen kuin viitevalmiste, joka sisältää samaa vaikuttavaa ainetta. Efmodyn käyttötarkoitus on kuitenkin eri ja sitä on saatavana eri vahvuuksia kapseleina, jotka vapauttavat vaikuttavaa ainetta hitaasti. Efmody-kapseleiden viitevalmiste on Hydrocortone-tabletit.

Miten Efmody-valmistetta käytetään?

Efmody-valmistetta saa säädellysti vapauttavina kapseleina ja ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoito on aloitettava lisämunuaisen synnynnäiseen liikakasvuun perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Suositteltu Efmody-annos aikuisille ja täyteen pituuteensa kasvaneille nuorille on 15–25 mg vuorokaudessa. Kasvuikässä oleville nuorille annos lasketaan painon ja pituuden mukaan. Vuorokausiannosta voidaan tarvittaessa muuttaa yksilöllisen vasteen perusteella. Osa vuorokausiannoksesta (2/3 - 3/4) otetaan illalla nukkumaan mennessä, vähintään kaksi tuntia viimeisen aterian jälkeen, ja loput aamulla vähintään tunti ennen ateriaa.

Potilaiden saattaa olla tarpeen ottaa muuta hydrokortisonia sisältävää lääkettä henkisen tai fyysisen stressitilan, myös leikkausten ja infektioiden, aikana.

Lisätietoja Efmodyn käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Efmody vaikuttaa?

Lisämunuaisen synnynnäistä liikakasvua sairastavien henkilöiden elimistö ei pysty tuottamaan riittävästi luonnollista kortikosteroidihormoni kortisolia (eikä toisinaan myöskään toista hormonia, aldosteronia). Tavallisesti kortisolia valmistuu lisämunuaisissa (pienet rauhaset munuaisten yläpuolella). Se auttaa säätelemään muita hormoneja ja kehon vastetta stressiin sekä kehon suola- ja



vesitasapainoa. Liikakasvua sairastavilla henkilöillä myös miessukupuolihormonien määrä lisääntyy, mikä voi aiheuttaa kasvu- ja hedelmällisyysongelmia.

Efmody sisältää hydrokortisonia, joka on synteettinen kortisolin muoto. Sitä vapautuu hitaasti suolistoon, ja se korvaa kehon luonnollisen hormonin vaikuttamalla samalla tavoin kuin luonnollisesti erittyvä kortisoli. Tämä auttaa palauttamaan normaalin hormonitasapainon ja minimoimaan muita tilaan liittyviä ongelmia.

Mitä hyötyä Efmody-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Efmodyn hyödyt osoitettiin yhdessä tutkimuksessa, johon osallistui 122 lisämunuaisten synnynnäistä liikakasvua sairastavaa potilasta. Efmody-valmistetta verrattiin muilla kortikosteroidilääkkeillä annettuun tavanomaiseen hoitoon. Tehon pääasiallinen mitta perustui 17-OHP-pitoisuuden pistemäärään. 17-OHP on hormoni joka ilmaisee lisääntyneen miessukupuolihormonien määrän hallitsemattomassa lisämunuaisten synnynnäisessä liikakasvussa. Pistemäärän lasku tutkimuksessa osoitti sairauden olevan paremmin hallinnassa. 24 tutkimusviikon aikana pistemäärä laski Efmody-valmistetta saaneilla potilailla 0,403 pistettä ja tavanomaista hoitoa saaneilla 0,172 pistettä. Vaikka ero ei riittänyt osoittaman selvästi, että Efmody tehosi tavanomaista hoitoa paremmin, mittaukset viittasivat myös siihen, että aamun 17-OHP-tasot saatiin paremmin hallintaan.

Käynnissä olevasta jatkotutkimuksesta saadut tulokset tukevat tiedot osoittivat, että lisämunuaisten synnynnäinen liikakasvu voitaisiin saada hallintaan Efmodyn avulla pitkällä aikavälillä.

Mitä riskejä Efmodyyn liittyy?

Efmodyn yleisin haittavaikutus (jota saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle henkilölle kymmenestä) on väsymys. Muita Efmodyn yleisiä haittavaikutuksia (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle kymmenestä) ovat päänsärky, lisääntynyt ruokahalu, huimaus ja painonnousu. Yleisin vakava vaikutus on akuutti lisämunuaisten vajaatoiminta (kortikosteroidilääkkeistä ei vapaudu riittävästi hydrokortisonia elimistön lisääntyneeseen kortisolin tarpeeseen stressitilan tai infektion aikana, mikä voi ilmetä oksenteluna ja voimakkaana huonovointisuutena).

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Efmodyn haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Efmody on hyväksytty EU:ssa?

Lisämunuaisten synnynnäinen liikakasvu saatiin riittävän hyvin hallintaan Efmody-valmisteella, ja kaikkienensa tiedot osoittivat hormonitasapainon parantuneen sen avulla. Pitkäaikaiset tiedot viittasivat siihen, että hyödyt ovat jatkuvia – joissakin tapauksissa aiempaa pienemmillä kortikosteroidiannoksilla, jolloin pitkäaikaisen hoidon haittavaikutusten riski vähenee. Säädellysti vapautuvan hydrokortisonin katsottiin tuovan kliinistä hyötyä mahdollistamalla annostuksen, joka muistuttaa luonnollisen kortisolierityksen päivittäistä rytmiä. Efmodyn ilmoitetut haittavaikutukset vastaavat suun kautta otettavan hydrokortisonin odotettuja haittavaikutuksia. Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Efmodyn hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Efmodyn turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Efmodyn käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Efmodyn käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Efmody-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Efmody-valmisteesta

Lisää tietoa Efmody-valmisteesta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.