



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/454740/2024
EMA/H/C/004883

Esperoct (*turoktokogi alfa pegoli*)

Yleistiedot Esperoctista sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa.

Mitä Esperoct on ja mihin sitä käytetään

Esperoct on lääkevalmiste, jota käytetään verenvuodon ehkäisyyn ja hoitoon aikuisilla ja lapsilla, jotka sairastavat hemofilia A:ta. Hemofilia A on perinnöllinen verenvuotosairaus, joka johtuu hyytymistekijä VIII -proteiinin puutteesta. Hyytymistekijä VIII on proteiini, joka auttaa verta hyytymään.

Esperoctin vaikuttava aine on turoktokogi alfa pegoli.

Miten Esperoctia käytetään?

Esperoct-valmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoito aloitetaan hemofilian hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Esperoct annetaan injektiona laskimoon. Hoidossa käytettävä annos, sen antotiheys ja hoidon kesto määräytyvät sen mukaan, käytetäänkö valmistetta verenvuodon hoitoon vai ennaltaehkäisyyn, sekä hemofilian vaikeusasteen, verenvuodon laajuuden ja vuotokohdan sekä potilaan iän, tilan ja painon mukaan. Potilaat tai heidän hoitajansa voivat injektoida Esperoctia itse saatuaan sitä varten asianmukaista opastusta.

Lisätietoja Esperoctin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Esperoct vaikuttaa?

Hemofilia A -potilaiden verestä puuttuu hyytymistekijä VIII. Hyytymistekijä VIII veren hyytymiselle välttämätön proteiini. Sen puute aiheuttaa verenvuototaipumuksen. Esperoctin vaikuttava aine turoktokogi alfa pegoli vaikuttaa kehossa samalla tavalla kuin hyytymistekijä VIII. Se korvaa puuttuvan hyytymistekijä VIII:n ja edistää siten veren hyytymistä, jolloin verenvuototauti saadaan väliaikaisesti hallintaan.

Osa vaikuttavasta aineesta on pegyloitu. Pegyloinnissa lääkkeeseen lisätään kemikaalia nimeltään polyetyleeniglykoli (PEG), minkä ansiosta vaikuttava aine pysyy elimistössä kauemmin ja sen vaikutusaika pitenee.



Mitä hyötyä Esperoctista on havaittu tutkimuksissa?

Tutkimukset ovat osoittaneet, että Esperoct on tehokas verenvuototapahtumien ehkäisemisessä ja hoidossa vaikeaa hemofiliaa sairastavilla potilailla.

Päätutkimuksessa, johon osallistui 12–66-vuotiaita potilaita ja jossa 175 potilaalle annettiin Esperoctia ennaltaehkäisevänä hoitona joka neljäs päivä tai kaksi kertaa viikossa, verenvuototapahtumia oli vuodessa keskimäärin neljä. Tavoitteeksi asetettu alle 8,5 tapahtumaa vuodessa saavutettiin. Kun verenvuototapahtumia esiintyi, ne hoidettiin onnistuneesti 94 prosentissa tapauksista antamalla yhden tai kaksi lisäinjektiota.

Tässä tutkimuksessa oli lisäksi 12 potilasta, joille ei annettu ehkäisevää hoitoa vaan Esperoctia verenvuodon hoitoon tarvittaessa. Näillä potilailla oli keskimäärin noin 32 verenvuotoa vuodessa, ja Esperoct pysäytti verenvuodoista 97 prosenttia yhden tai kahden injektion jälkeen.

Toiseen tutkimukseen osallistui 68 alle 12-vuotiaasta lasta, joille oli aiemmin annettu muita hyytymistekijä VIII -lääkkeitä. Tutkimuksen 26 viikkoa kestäneessä pääosassa, jossa Esperoctia annettiin ennaltaehkäisevänä hoitona, verenvuototapahtumia oli vuodessa noin kaksi. Toisen tutkimuksen pitkäaikaisessa jatkotutkimuksessa lapsilla esiintyi keskimäärin alle yksi verenvuototapahtuma vuodessa. Kaikki verenvuodot saatiin onnistuneesti hoidettua Esperoct-lisäannoksilla.

Kolmanteen päätutkimukseen osallistui 81 alle 6-vuotiaasta lasta, jotka eivät olleet aiemmin saaneet hyytymistekijä VIII -lääkkeitä. Lapsilla esiintyi keskimäärin 1,8 verenvuototapahtumaa vuodessa, ja 93 prosenttia verenvuodoista hoidettiin onnistuneesti Esperoct-valmisteella.

Mitä riskejä Esperoctiin liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Esperoctin haittavaikutuksista ja sitä koskevista rajoituksista.

Esperoct-hoidon yhteydessä voi ilmetä yliherkkyyssreaktioita (allergisia reaktioita), jotka ovat kuitenkin melko harvinaisia (enintään yhdellä potilaalla sadasta). Nämä reaktiot voivat joissakin tapauksissa kehittyä vaikeiksi. Oireita ovat pistoskohdan turvotus, polttelu ja pistely, vilunväreet, punoitus, kutiava ihottuma, päänsärky, nokkosihottuma, alhainen verenpaine, letargia, pahoinvointi ja oksentelu, levottomuus, nopea syke, puristuksen tunne rinnassa, kihelmöinti ja hengityksen vinkuminen.

Hyvin harvoin potilaat voivat kehittää vasta-aineita hamsterin proteiineille ja saada allergisia reaktioita. Esperoctia ei saa antaa potilaille, jotka ovat allergisia hamsterin proteiineille.

Hyytymistekijä VIII:aa sisältävien hoitojen, kuten Esperoctin, jälkeen joillekin potilaille voi kehittyä hyytymistekijä VIII:n estäjiä (vasta-aineita), jolloin lääke ei enää tehoa eikä verenvuoto pysy hallinnassa. Mikäli näin käy, tulee ottaa yhteyttä hemofiliakeskukseen.

Kliinisissä tutkimuksissa noin kolmannekselle aiemmin hoitamattomista Esperoct-hoidon aloittaneista potilaista, joille ei kehittynyt hyytymistekijä VIII:n estäjiä, kehittyi vasta-aineita vaikuttavan aineen PEG-osaa vastaan. Tämä vähensi hyytymistekijä VIII:n aktiivisuutta, mikä johti siihen, että joillakin näistä potilaista verenvuoto ei pysynyt enää hallinnassa. Hyytymistekijä VIII:n aktiivisuus palautui normaaliksi kaikilla potilailla, jotka jatkoivat Esperoct-hoitoa.

Miksi Esperoct on hyväksytty EU:ssa?

Tutkimuksissa on havaittu, että Esperoct ehkäisee ja hoitaa tehokkaasti verenvuotoa hemofilia A:ta sairastavilla aikuisilla ja lapsilla. Koska Esperoct on pegyloitu, potilaat saattavat tarvita pistoksia vähemmän tai harvemmin verrattuna perinteisiin hyytymistekijä VIII -valmisteisiin.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Esperoctin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Esperoctin turvallinen ja tehokas käyttö?

Esperoctia markkinoiva yhtiö tekee tutkimuksen, jossa tutkitaan PEG:n aivojen suonipunokseen ja muihin kudoksiin ja elimiin kertymisen mahdollisia vaikutuksia.

Esperoct-valmisteen turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Esperoctin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Esperoctista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Esperoctista

Esperoct sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 20. kesäkuuta 2019.

Lisätietoja Esperoct-valmisteesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esperoct.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 10-2024.