



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/226/2016
EMA/H/C/004147

EPAR-yhteenveto

Iblias

oktokogialfa

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee lääkevalmistetta nimeltä Iblias. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätynyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sille sekä suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Ibliasin käytöstä.

Potilas saa Ibliasin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Iblias on ja mihin sitä käytetään?

Iblias-valmistetta käytetään verenvuotojen hoitoon ja estämiseen hemofilia A -potilailla (synnynnäinen verenvuotosairaus, joka johtuu hyytymistekijä VIII:n puutteesta). Sen vaikuttava aine on oktokogialfa, joka on samanlainen kuin ihmisen hyytymistekijä VIII.

Miten Ibliasia käytetään?

Ibliasia on saatavana kuiva-aineena ja liuottimena, joista valmistetaan injektiooliuos. Injektio annetaan laskimoon usean minuutin kuluessa. Annokseen ja injektioiden antotiheyteen vaikuttavat Ibliasin käyttötarkoitus (verenvuodon hoito vai ennaltaehkäisy), hyytymistekijä VIII:n puutoksen vaikeusaste, verenvuodon laajuus, vuotokohta sekä potilaan tila ja paino.

Ibliasia saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoito pitää aloittaa hemofilian hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa. Lisätietoja on valmisteyhteenvedossa (sisältyy myös EPAR-lausuntoon).

Miten Iblias vaikuttaa?

Hemofilia A:ta sairastavilla potilailla on liian vähän hyytymistekijä VIII:aa, joka on veren normaaliin hyytymiseen tarvittava proteiini. Siksi näillä potilailla on verenvuototaipumus, ja heillä voi olla verenvuotoja niveliin, lihaksiin ja sisäelimiin. Ibliasin vaikuttava aine efmoroktokogi alfa vaikuttaa



kehossa samalla tavalla kuin hyytymistekijä VIII. Se korvaa puuttuvan hyytymistekijä VIII:n ja auttaa siten verta hyytymään, jolloin verenvuoto saadaan väliaikaisesti hallintaan.

Mitä hyötyä Ibliaksesta on havaittu tutkimuksissa?

Ibliasin teho verenvuodon ehkäisyssä ja hoidossa osoitettiin päätutkimuksessa, johon osallistui 62 potilasta. Potilaat olivat vähintään 12-vuotiaita, heillä oli vaikea hemofilia A ja he olivat saaneet aiemmin hoitoa muilla hyytymistekijä VIII -valmisteilla. Iblias-hoidon aikana ilmenneiden vuotojen määrä oli keskimäärin 3,8 vuotoa vuodessa (lähinnä niveliin). Ennen Iblias-hoitoa vuotoja oli keskimäärin 6,9 vuodessa. Vastaavia tuloksia saatiin potilailla, jotka jatkoivat lääkkeen ottamista alkuperäisen tutkimuksen loppumisen jälkeen.

Noin 70 prosenttia ilmenneistä vuototapahtumista saatiin hallintaan yhdellä Iblias-injektiolla, ja lisäksi noin 15 prosentissa vuotoista saatiin vaste toisella injeksiolla. Vastetta pidettiin hyvänä tai erinomaisena noin 80 prosentissa tapauksista. Tutkimuksen aikana 12 potilasta tarvitsi suuren leikkauksen, ja potilaiden lääkärit arvioivat myös verenhukan hallinnan hyväksi tai erinomaiseksi.

Toiseen tutkimukseen osallistui 51 alle 12-vuotiaasta lasta, jotka olivat saaneet aiemmin hoitoa muilla hyytymistekijä VIII -valmisteilla. Myös heillä oli keskimäärin 3,8 vuotoa vuodessa (lähinnä vammojen yhteydessä) Iblias-hoidon aikana. Hoitovastetta pidettiin hyvänä tai erinomaisena noin 90 prosentissa tapauksista.

Yhden tukevan tutkimuksen tiedot vahvistivat myös, että ennakkokäisestä Iblias-hoidosta oli hyötyä verenvuotojen määrän vähentämisessä.

Mitä riskejä Ibliasiin liittyy?

Yliherkkyysoireet (allergiset reaktiot) ovat melko harvinaisia Kovaltryä käytettäessä. Niiden esiintymisväli on yhdellä potilaalla tuhannesta ja alle yhdellä potilaalla sadasta. Niitä ovat angioedeema (turvotus kasvoissa ja raajoissa), polttava tunne ja pistely pistoskohdassa, vilunväristykset, punoitus, urtikaria (yleistynyt kutiseva ihottuma), päänsärky, nokkosihottuma, alhainen verenpaine, letargia (unisuus), pahoinvointi, levottomuus, takykardia (sydämen tiheä sykintä), rinnanahdistus, kihelmöinti, oksentelu ja vinkuva hengitys. Nämä reaktiot voivat joissakin tapauksissa kehittyä vaikeiksi.

Potilaat saattavat muodostaa vasta-aineita hamsterin tai hiiren proteiineille. Lääkettä ei saa antaa potilaille, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) oktokogialfalle tai hamsterin tai hiiren proteiineille. Lisäksi hyytymistekijä VIII:ta sisältävät lääkkeet saattavat aiheuttaa hyytymistekijä VIII:n vasta-aineiden kehittymistä, jolloin lääke ei enää tehoa eikä verenvuoto pysy hallinnassa.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Ibliasin ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Miksi Iblias on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Ibliasin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suosittelee myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa. Ibliasin on osoitettu hoitavan ja ehkäisevän verenvuotoja tenokkaasti, mukaan lukien verenhukan hallinta leikkausten aikana, ja sitä voidaan käyttää kaikissa ikäryhmissä. Mitä turvallisuuteen tulee, ilmoitetut sivuvaikutukset vastaavat hyytymistekijä VIII -valmisteilta odotettavissa olevia sivuvaikutuksia. Meneillään olevista tutkimuksista odotetaan saatavan lisää näyttöä tehosta ja turvallisuudesta potilailla, joita ei ole aiemmin hoidettu hyytymistekijä VIII -valmisteilla, ja lisätietoja pitkäaikaisesta käytöstä lapsilla.

Miten voidaan varmistaa Ibliasin turvallinen ja tehokas käyttö?

Ibliasin mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on kehitetty riskinhallintasuunnitelma. Sen mukaisesti valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty Ibliasia koskevaa turvallisuustietoa, mukaan lukien terveydenhuollon ammattilaisille ja potilaille noudatettaviksi tarkoitetut asianmukaiset varotoimet.

Lisätietoja löytyy [riskinhallintasuunnitelman yhteenvedosta](#).

Lisäksi Ibliasia markkinoiva yhtiö saattaa loppuun tutkimukset, joissa tarkastellaan lääkkeen tehoa potilailla, joita ei ole aiemmin hoidettu muilla hyytymistekijä VIII -valmisteilla, ja joista saadaan lisää näyttöä lasten pitkäaikaisen Iblias-hoidon turvallisuudesta ja tehosta.

Muita tietoja Ibliasista

Ibliasia koskeva EPAR-arviointilausunto kokonaisuudessaan sekä riskinhallintasuunnitelman yhteenvedo ovat viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisätietoja Iblias-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon),lääkäriltä tai apteekista.