

EMA/505987/2015
EMA/H/C/002792

Julkinen EPAR-yhteenveto

Obizur

susoktokogialfa

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Obizur-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Obizurin käytöstä.

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

Mitä Obizur on ja mihin sitä käytetään?

Obizur-lääkevalmisteella hoidetaan verenvuototapahtumia aikuisilla, joilla on hankinnainen hemofilia. Se on verenvuototauti, jossa muodostuu spontaanisti vasta-aineita, jotka heikentävät hyytymistekijä VIII:n aktiivisuutta. Hyytymistekijä VIII on yksi veren normaaliin hyytymiseen tarvittava proteiini.

Obizurin vaikuttava aine on susoktokogialfa.

Miten Obizuria käytetään?

Obizuria saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hemofilian hoitoon erikoistuneen lääkärin on valvottava hoitoa. Obizuria on saatavana kuiva-aineena ja liuottimena, joista valmistetaan laskimoon annettava injektiooliuos. Annos, annosväli ja hoidon pituus määräytyvät potilaan tilan asettamien vaatimusten ja verenvuodon aiheuttaman vaaran mukaan. Lisää tietoa on valmisteyhteenvedossa (sisältyy myös EPAR-lausuntoon).

Miten Obizur vaikuttaa?

Hyytymistekijä VIII:n vasta-aineet aiheuttavat hankinnaisen hemofilian, jota sairastavilla potilailla on veren hyytymisongelmia, kuten verenvuotoa nivelissä, lihaksissa ja sisäelimissä. Obizurin vaikuttava aine susoktokogialfa vaikuttaa kehossa samalla tavalla kuin hyytymistekijä VIII, mutta poikkeaa siitä



hieman muodoltaan. Siksi vasta-aineet eivät tunnista sitä helposti, ja se voi korvata inaktivoituneen hyytymistekijä VIII:n. Tämä auttaa verta hyytymään ja hillitsee verenvuotoa.

Mitä hyötyä Obizurista on havaittu tutkimuksissa?

Obizuria on tutkittu yhdessä päätutkimuksessa. Siihen osallistui 28 aikuista potilasta, joilla oli hyytymistekijä VIII:n vasta-aineiden aiheuttama hankinnainen hemofilia ja vakava verenvuototapahtuma. Obizuria ei verrattu muihin lääkevalmisteisiin. Obizurin hoitovastetta pidettiin myönteisenä, jos verenvuoto lakkasi tai väheni, ja kielteisenä, jos verenvuoto jatkui tai paheni. Kaikilla 28 potilaalla saatiin myönteinen hoitovaste 24 tunnin kuluessa Obizur-hoidon aloittamisesta. Verenvuoto lakkasi kokoaan 24 potilaalla 28:sta.

Mitä riskejä Obizuriin liittyy?

Obizur saattaa aiheuttaa yliherkkyysoireita (allergisia reaktioita), joita ovat esimerkiksi angioedeema (turvotus ihonalaisissa kudoksissa), injektiokohdan polte ja kirvely, vilunväristykset, punoitus, kutiseva ihottuma, päänsärky, nokkosihottuma, matala verenpaine, väsymys tai levottomuus, pahoinvointi tai oksentelu, takykardia (sydämen nopea syke), puristava tunne rinnassa, hengityksen vinkuminen ja kihelmöinti. Joissakin tapauksissa nämä reaktiot voivat olla vakavia (anafylaksi), ja verenpaine voi laskea vaarallisen matalalle. Obizuria ei saa antaa potilaille, joille susoktokogialfa, jokin muu valmisteen sisältämä aine tai hamsteriproteiini on aiheuttanut vakavan allergisen reaktion. Potilaille, joilla on hyytymistekijä VIII:n vasta-aineiden aiheuttama hankinnainen hemofilia, voi muodostua vasta-aineita susoktokogialfaa vastaan.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Obizurin ilmoitetuista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Obizur on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Obizurin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa. Lääkevalmistekomitea totesi, että hyytymistekijä VIII:n vasta-aineiden aiheuttaman hankinnaisen hemofilian hoitoon ei ole erityisiä hoitoja. Päätutkimuksen tulokset osoittivat, että Obizur oli tehokas vakavien verenvuotojen hoidossa kyseistä sairautta sairastavilla aikuisilla. Mitä turvallisuuteen tulee, lääkevalmistekomitea katsoi, että mahdolliset allergiset reaktiot ja lääkevalmisteen vasta-aineiden muodostuminen ovat odotettavissa, mutta lääkevalmisteen hyöty on näitä riskejä suurempi.

Obizur on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Obizurista ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Obizurista odotetaan vielä saatavan?

Koska Obizurille on annettu myyntilupa poikkeusolosuhteissa, Obizuria markkinoiva yhtiö perustaa rekisterin, jonka avulla kerätään ja analysoidaan lyhyt- ja pitkäaikaisia tietoja Obizurin tehosta ja turvallisuudesta potilailla, joilla on hyytymistekijä VIII:n vasta-aineiden aiheuttama hankinnainen hemofilia, sekä ylläpitää tätä rekisteriä.

Miten voidaan varmistaa Obizurin turvallinen ja tehokas käyttö?

Obizurin mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on laadittu riskinhallintasuunnitelma. Tämän suunnitelman mukaisesti Obizurin valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on liitetty

turvallisuustietoa, mukaan lukien tiedot asianmukaisista varotoimista terveydenhoidon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi.

Lisäksi Obizuria markkinoiva yhtiö toimittaa koulutusmateriaalia ja annoksen laskemisohjeet terveydenhoidon ammattilaisille, joiden odotetaan käyttävän Obizuria.

Lisätietoja löytyy [riskinhallintasuunnitelman yhteenvedosta](#)

Muita tietoja Obizurista

Obizuria koskeva EPAR-arviointilausunto kokonaisuudessaan sekä riskinhallintasuunnitelman yhteenvedot ovat viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find_medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Lisää tietoa Obizurilla annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Obizuria koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).