



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Refixia (*nonakogi beetapegoli*)

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

### Mitä Refixia on ja mihin sitä käytetään?

Refixia on lääke jota käytetään verenvuotojen hoitoon ja ehkäisyyn hemofilia B -potilailla. Tätä perinnöllistä verenvuotosairautta aiheuttaa hyytymistekijä IX:n puute. Hyytymistekijä IX on proteiini, jota tarvitaan verihyytymien muodostumiseen verenvuodon tyrehtyttämiseksi.

Refixian vaikuttava aine on nonakogi beetapegoli.

### Miten Refixiaa käytetään?

Refixiaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoito on annettava hemofilian hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Refixia annetaan injektiona laskimoon. Annos ja hoidon toistoväli riippuvat siitä, käytetäänkö Refixiaa verenvuodon hoitamiseen vai sen estämiseen vai verenvuodon vähentämiseen kirurgisen toimenpiteen aikana, verenvuodon laajuudesta ja vuotokohdasta sekä potilaan painosta.

Potilaat tai heidän hoitajansa voivat injektoida Refixiaa itse saatuaan siihen asianmukaisen opastuksen. Tarkempaa tietoa on pakkausselosteessa.

Lisätietoja Refixian käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Miten Refixia vaikuttaa?

Hemofilia B:tä sairastavilla potilailla on hyytymistekijä IX:n puutos. Se on proteiini, jota tarvitaan veren normaaliin hyytymiseen, ja sen puuttuessa verta vuotaa helposti. Refixian vaikuttava aine, nonakogi beetapegoli, vaikuttaa kehossa samalla tavalla kuin ihmisen veren hyytymistekijä IX. Se korvaa puuttuvan hyytymistekijä IX:n ja auttaa siten verta hyytymään, jolloin verenvuoto saadaan väliaikaisesti hallintaan.



## Mitä hyötyä Refixiasta on havaittu tutkimuksissa?

Refixian on osoitettu olevan tehokas sekä verenvuotojen hoidossa että verenvuotojen määrän vähentämisessä.

Tutkimuksessa, johon osallistui 74 aikuista ja yli 13-vuotiasta nuorta, 29 potilaalla, joille annettiin Refixiaa viikoittain ehkäisevänä hoitona, oli noin yksi verenvuototapahtuma vuodessa, ja 15 potilaalla, joille Refixiaa annettiin verenvuototapahtumien hoitoon tarpeen mukaan, oli noin 16 verenvuototapahtumaa vuodessa. Lisäksi silloin, kun verenvuototapahtumia esiintyi, Refixian hoitovaikutusta pidettiin erinomaisena tai hyvänä noin 92 prosentissa verenvuototapahtumista. 87 prosenttia verenvuototapahtumista parani yhdellä Refixia-injektiolla.

Toisessa tutkimuksessa, jossa oli mukana 25 alle 13-vuotiasta potilasta, joita oli hoidettu aiemmin muilla hyytymistekijä IX -valmisteilla, kaikille potilaille annettiin Refixiaa viikoittain ehkäisevänä hoitona. Yhden vuoden hoidon jälkeen potilailla oli noin yksi verenvuototapahtuma vuodessa. Refixian hoitovaikutusta pidettiin erinomaisena tai hyvänä noin 93 prosentissa verenvuototapahtumista. Noin 86 prosentissa verenvuototapahtumista verenvuoto saatiin tyrehtymään yhdellä Refixia-injektiolla. Tutkimuksessa saatiin myös tietoja Refixian pitkäaikaisesta käytöstä. Enintään kahdeksan vuotta kestäneen Refixia-hoidon aikana keskimääräinen vuotuinen verenvuototapahtumien määrä oli 0,9 verenvuotoa vuodessa. Refixian hoitovaikutusta pidettiin erinomaisena tai hyvänä noin 89 prosentissa verenvuototapahtumista. Noin 82 prosentissa verenvuototapahtumista verenvuoto saatiin tyrehtymään yhdellä Refixia-injektiolla.

Kolmannessa tutkimuksessa, johon osallistui 50 alle 7-vuotiasta lasta, joita ei ollut aiemmin hoidettu muilla hyytymistekijä IX -valmisteilla, Refixiaa annettiin viikoittain ehkäisevänä hoitona. Enintään kuusi vuotta kestäneen Refixia-hoidon aikana keskimääräinen vuotuinen verenvuototapahtumien määrä oli 0,7 verenvuotoa vuodessa. Refixian hoitovaikutusta pidettiin erinomaisena tai hyvänä noin 96 prosentissa verenvuototapahtumista. Noin 91 prosenttia verenvuototapahtumista saatiin tyrehtymään yhdellä Refixia-injektiolla.

Molempien lapsilla tehtyjen tutkimusten tulokset osoittivat myös, että noin kuusi vuotta kestäneen Refixia-hoidon jälkeen potilailla hyytymistekijä IX:n pitoisuudet olivat vakiintuneet tasolle, joka vastaa lievää hemofiliaa.

## Mitä riskejä Refixiaan liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Refixian haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Yliherkkyyssreaktiot (allergiset reaktiot) ovat melko harvinaisia (niitä saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle sadasta) Refixian käytön yhteydessä. Niiden 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 ja hengityksen vinkuminen. Nämä reaktiot voivat joissakin tapauksissa kehittyä vaikeiksi.

Joillakin potilailla hyytymistekijä IX -lääkkeet saattavat aiheuttaa hyytymistekijä IX:n vasta-aineiden kehittymistä, jolloin lääke ei enää tehoa eikä verenvuoto pysy hallinnassa. Hyytymistekijä IX -lääkkeet voivat aiheuttaa myös ongelmia, jotka johtuvat hyytymien muodostumisesta verisuonissa.

Refixiaa ei saa antaa potilaille, jotka ovat allergisia nonakogi beetapegolille tai jollekin lääkkeen ainesosalle, eikä potilaille, joiden tiedetään olevan allergisia hamsterin proteiineille.

## Miksi Refixia on hyväksytty?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Refixian hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

Tutkimukset osoittavat, että Refixia on tehokas hemofilia B -potilaiden verenvuototapahtumien ehkäisyssä ja hoidossa, ja että sen turvallisuus on verrattavissa muihin hyytymistekijä IX -valmisteisiin. Osa Refixian vaikuttavasta aineesta (nimeltään PEG) voi kuitenkin pitkäaikaisen käytön seurauksena kertyä elimistöön, myös aivojen suonipunos-nimiseen rakenteeseen.

Refixian pitkäaikainen käyttö alle 13-vuotiailla lapsilla johti alhaiseen vuotuiseen verenvuototapahtumien määrään. Lisäksi Refixian katsottiin suojaavan verenvuototapahtumilta, sillä hyytymistekijä IX:n pitoisuudet vakiintuivat Refixia-hoidolla alle 13-vuotiailla lapsilla, joille lääkettä annettiin verenvuodon ehkäisyyn. Refixiaa ei ollut aiemmin hyväksytty käytettäväksi alle 12-vuotiailla lapsilla PEG:n kertymisestä pikkulapsille aiheutuvien huolenaiheiden vuoksi. Tutkimuksista saadut kattavat tiedot, myös tiedot pitkäaikaisesta käytöstä, eivät ole osoittaneet yhteyttä PEG:n kertymisestä johtuviin hermostoon kohdistuviin haittavaikutuksiin.

## Miten voidaan varmistaa Refixian turvallinen ja tehokas käyttö?

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

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Refixian käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen

## Muita tietoja Refixiasta

Refixia sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 2. kesäkuuta 2017.

Lisätietoja Refixiasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/refixia](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/refixia)

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 07-2023.