



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267633/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*hidrokortizon*)

Pregled informacija o lijeku Efmody i zašto je odobren u EU-u

Što je Efmody i za što se koristi?

Efmody je lijek koji se koristi za liječenje nasljedne bolesti koja se naziva kongenitalna adrenalna hiperplazija (KAH) u bolesnika u dobi od 12 godina i starijih.

To je rijetka bolest, a lijek Efmody dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 27. srpnja 2005. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Efmody sadrži djelatnu tvar hidrokortizon te je „hibridni lijek”. To znači da je sličan referentnom lijeku koji sadrži istu djelatnu tvar, ali lijek Efmody ima drugačiju indikaciju i dostupan je u nekoliko jačina u obliku kapsula čija formulacija omogućuje produljeno oslobađanje djelatne tvari. Referentni lijek za kapsule Efmody su tablete Hydrocortone.

Kako se Efmody primjenjuje?

Lijek Efmody dostupan je u obliku kapsula s prilagođenim oslobađanjem i izdaje se samo na recept. Liječenje treba započeti liječnik s iskustvom u liječenju KAH-a.

Preporučena doza lijeka Efmody za odrasle osobe i adolescente u kojih je dovršen proces rasta iznosi od 15 do 25 mg dnevno. Za adolescente u kojih nije dovršen proces rasta doza se određuje na temelju njihove tjelesne težine i visine. Dnevna doza može se prema potrebi prilagođavati, ovisno o pojedinačnom odgovoru. Dvije trećine do tri četvrtine dnevne doze uzima se uvečer neposredno prije spavanja, barem dva sata nakon posljednjeg obroka, a ostatak ujutro, barem sat vremena prije obroka.

Bolesnici će možda trebati uzimati i dodatni lijek koji sadrži hidrokortizon u razdobljima psihičkog ili fizičkog stresa kao što su operativni zahvati i infekcije.

Za više informacija o primjeni lijeka Efmody pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Efmody?

Osobe s KAH-om ne mogu proizvoditi dovoljnu količinu prirodnog kortikosteroidnog hormona kortizola (a ponekad ni drugog hormona, aldosterona). Kortizol obično nastaje u nadbubrežnim žlijezdama i

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands
Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us
Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



pomaže pri reguliranju ostalih hormona i odgovora tijela na stres kao i uspostavljanju ravnoteže soli i vode u tijelu. U tih su osoba povišene i razine muških spolnih hormona, što može prouzročiti probleme s rastom i plodnošću.

Efmody sadrži hidrokortizon, sintetički oblik kortizola, koji se polako oslobađa u crijevima i nadomješta prirodni hormon u tijelu na način koji je sličan prirodnom dnevnom izlučivanju kortizola. Time doprinosi uspostavljanju bolje hormonske ravnoteže i svodi na najmanju moguću mjeru ostale aspekte bolesti.

Koje su koristi od lijeka Efmody utvrđene u ispitivanjima?

Koristi od lijeka Efmody utvrđene su u glavnom ispitivanju kojim su bila obuhvaćena 122 bolesnika s KAH-om. Lijek Efmody uspoređen je sa standardnom terapijom koja podrazumijeva kortikosteroidne lijekove. Glavno mjerilo učinkovitosti bila je vrijednost razine tvari 17-OHP, hormonske tvari koja upućuje na povišenu razinu muških spolnih hormona u slučaju neliječenog KAH-a. Pad te vrijednosti tijekom ispitivanja bio je znak bolje kontrole bolesti. Tijekom 24 tjedna ispitivanja ta je vrijednost pala za 0,403 u bolesnika koji su primali lijek Efmody odnosno za 0,172 u onih koji su primali standardnu terapiju. Iako ova razlika nije bila dovoljna kako bi se nedvojbeno utvrdilo da lijek Efmody djeluje bolje od standardne terapije, mjerenjima je utvrđena i bolja kontrola jutarnjih razina tvari 17-OHP.

Dodatni podatci iz ispitivanja kontinuirane uporabe lijeka, koje je u tijeku, upućuju na to da se primjenom lijeka Efmody KAH može dugoročnije kontrolirati.

Koji su rizici povezani s lijekom Efmody?

Najčešća nuspojava lijeka Efmody (koja se može javiti u više od 1 na 10 osoba) jest umor. Ostale česte nuspojave lijeka Efmody (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba) jesu glavobolja, povećani apetit, omaglica i povećanje tjelesne težine. Najčešća je ozbiljna nuspojava akutna adrenalna insuficijencija (kada kortikosteroidni lijek ne može isporučiti dovoljno hidrokortizona da bi se odgovorilo na povećanu potrebu za kortizolom tijekom stresa ili infekcije, uslijed čega bolesnik može povraćati ili se vrlo loše osjećati).

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s primjenom lijeka Efmody potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Efmody odobren u EU-u?

Primjenom lijeka Efmody omogućena je primjerena kontrola KAH-a, a sveukupni podatci upućivali su na bolju hormonsku ravnotežu. Dugoročni podatci pokazali su da je to moguće održati u nekim slučajevima primjenom nižih doza kortikosteroida nego ranije, čime se smanjuje rizik od nuspojava uslijed dugoročne terapije. Smatralo se da hidrokortizon s prilagođenim oslobađanjem donosi kliničku vrijednost jer omogućuje doziranje koje je slično dnevnom ritmu izlučivanja prirodnog kortizola. Prijavljene nuspojave lijeka Efmody slične su onima koje se očekuju od terapije hidrokortizonom koji se uzima kroz usta. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Efmody nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Efmody?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Efmody nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Efmody kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Efmody pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Efmody

Više informacija o lijeku Efmody dostupno je na internetskim stranicama Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.