



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/496146/2024
EMA/H/C/005938

Alhemo (*concizumab*)

Az Alhemo-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Alhemo és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Alhemo az A vagy B típusú hemofíliában szenvedő, legalább 12 éves betegeknél a vérzéses epizódok megelőzésére (rutin profilaxis) alkalmazott gyógyszer.

Az A-típusú és a B-típusú hemofília a vérzés leállításához, vérrögök előállításához szükséges fehérjék, a VIII-as faktor (A-típusú hemofília) vagy a IX-es faktor (B-típusú hemofília) hiánya által okozott örökletes vérzési rendellenességek.

Az Alhemo-t olyan személyeknél alkalmazzák, akiknél a vérben a VIII-as vagy IX-es faktor elleni gyógyszerek ellen ható inhibitorok, azaz antitestek (a szervezet természetes védekezőrendszere által előállított proteinek) képződtek, megakadályozva azok megfelelő működését.

Az Alhemo hatóanyaga a konciumab.

Hogyan kell alkalmazni az Alhemo-t?

A gyógyszer csak receptre kapható. A kezelést a hemofília vagy a vérzési rendellenességek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvos felügyelete alatt kell megkezdeni.

Az Alhemo-t bőr alá adott injekcióként, naponta egyszer, előretöltött injekciós toll segítségével kell alkalmazni. A kezelés az első napon a beteg testtömegén alapuló kezdő adaggal kezdődik. A második naptól kezdve alacsonyabb adagot kell beadni. 4 hetes kezelés után a kezelőorvos az adagot a koncizumab vérszintje alapján módosítja. Megfelelő betanítást követően a betegek maguknak is beadhatják az injekciót.

Az Alhemo alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását az Alhemo?

Az A-típusú hemofíliában szenvedő betegeknél hiányzik a VIII-as faktor, a B-típusú hemofíliában szenvedő betegeknél pedig a IX-es faktor, amelyek a szervezetben a véralvadást elősegítő fehérjék.

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



Azoknál a betegeknél, akiknél inhibitorok képződtek, a VIII-as vagy IX-es faktort tartalmazó gyógyszerek nem működnek megfelelően. A szervezetben azonban van egy másik, Xa-faktornak nevezett fehérje, amely szintén segíti a vér alvadását. Normális esetben ezt a faktort gyorsan gátolja a Xa-faktor véralvadását gátló fehérje, a szövetfaktor-útvonal-gátló (TFPI).

Az Alhemo hatóanyaga, a koncizumab egy monoklonális antitest (egy fehérjetípus), amelyet úgy alakítottak ki, hogy felismerje a TFPI-t, és ahhoz kötődjön. A TFPI-hez kötődve a koncizumab megakadályozza, hogy a TFPI blokkolja a Xa faktort, ami az A vagy B hemofíliában szenvedő betegeknél növeli a Xa faktor általi véralvadást.

Milyen előnyei voltak az Alhemo alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban, amelyben 127, inhibitorokat előállító, A vagy B típusú hemofíliában szenvedő, 12 éves vagy idősebb férfi és fiú vett részt, megállapították, hogy az Alhemo hatékonyabban csökkenti a vérzéses epizódok számát. A vérzések éves számának elemzésébe bevont, az Alhemo-val megelőző kezelésben részesülő 33 beteg közül a vérzések éves száma 1,7-re csökkent, szemben a megelőző kezelésben nem részesülő (és ehelyett szükség esetén faktortartalmú készítményekkel intravénás helyettesítő kezelésben részesülő) betegeknél tapasztalt 11,8 vérzéses epizóddal.

Egy standardizált pontrendszer (SF-36v2) alapján az Alhemo-val kezelt betegeknél kismértékű javulás következett be a fájdalom és a fizikai funkciók terén is. Az Alhemo-val megelőző kezelésben részesülő betegek esetében a fájdalom és a fizikai működés pontszámai 9,2, illetve 4,5 ponttal javultak a 100 pontos skálán, míg a megelőző kezelésben nem részesülő betegeknél ez az érték 2,2, illetve 1,2 volt.

Milyen kockázatokkal jár az Alhemo alkalmazása?

Az Alhemo alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Alhemo leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az injekció beadásának helyén fellépő reakciók. Egyes mellékhatások súlyosak lehetnek. A leggyakoribb mellékhatások közé tartoznak a tromboembóliás események (az erekben kialakuló vérrögök által okozott problémák) (0,9%) és a túlérzékenység (allergiás reakciók) (0,3%).

Miért engedélyezték az Alhemo forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában az A-típusú vagy B-típusú hemofíliában szenvedő betegeknél a legtöbb kezelés a VIII-as vagy IX-es faktor vénába adott infúziókat (cseppeket) foglalt magában pótló terápiaként. Bár az inhibitorokkal nem rendelkező betegeknél új kezeléseket engedélyeztek az A-típusú vagy B-típusú hemofília kezelésére, az inhibitorokkal rendelkezők esetében korlátozottak a kezelési lehetőségek. Az Alhemo hatásosnak bizonyult a vérzéses epizódok megelőzésében az A-típusú vagy B-típusú hemofíliában szenvedő, inhibitorokkal rendelkező betegeknél, és javította a beteg életminőségét. Ami a mellékhatásokat illeti, az Alhemo általában jól tolerálható. A fő biztonságossági probléma a tromboembóliás események kockázata, amelyet kezelhetőnek tartottak.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Alhemo alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Alhemo biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Alhemo-t forgalmazó vállalat a gyógyszert várhatóan alkalmazó egészségügyi szakemberek számára oktatóanyagokat fog biztosítani, amelyek a gyógyszer biztonságosságára vonatkozó

információkat tartalmaznak, beleértve a tromboembóliás események potenciális kockázatát, valamint annak szükségességét, hogy a betegeket kísérjék figyelemmel a jelek és tünetek szempontjából. A betegek egy útmutatót és egy kártyát is kapnak, amelyet maguknál kell tartaniuk.

Az Alhemo biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Alhemo alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Alhemo alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Alhemo-val kapcsolatos egyéb információ

Az Alhemo-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:
<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/alhemo>