



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/190021/2024
EMA/H/C/005968

Altuvoc (efanezoktokog-alfa)

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

Milyen típusú gyógyszer az Altuvoc és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Altuvoc-ot A-típusú hemofíliában szenvedő felnőtteknél és gyermekeknél alkalmazzák a vérzés megelőzésére és kezelésére. Az A-típusú hemofília egy örökletes vérzési rendellenesség, amelyet egy véralvadást elősegítő fehérje, a VIII-as alvadási faktor hiánya okoz.

Mivel az A-típusú hemofília ritkának minősül, az Altuvoc-ot 2019. június 28-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

Az Altuvoc hatóanyaga az efanezoktokog-alfa.

Hogyan kell alkalmazni az Altuvoc-ot?

Az Altuvoc csak receptre kapható, és a kezelést a hemofília kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

Az Altuvoc oldatos injekció készítésére szolgáló por és folyadék formájában kapható, amelyet vénába kell beadni 1–10 percen keresztül. Az adag a beteg testsúlyától és attól függ, hogy a gyógyszert a vérzés megelőzésére vagy kezelésére alkalmazzák-e.

A vérzés megelőzésére (profilaxis) az Altuvoc-ot hetente egyszer adják. Az aktív vérzés kezelésére (igény szerinti kezelés) a beteg először egyetlen Altuvoc-injekciót kap, amelyet szükség esetén 2–3 naponta további injekciók követnek. A szükség szerinti kezelés időtartama a betegség súlyosságától, a vérzés helyétől és kiterjedésétől, valamint a beteg egészségi állapotától függ.

A betegek vagy gondozók otthon maguk is beadhatják az Altuvocot-t, miután megfelelő képzésben részesültek.

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

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



Hogyan fejti ki hatását az Altuvoct?

Az A-típusú hemofíliában szenvedő betegeknél hiányzik a VIII-as alvadási faktor, egy, a véralvadást segítő fehérje. Az Altuvoct hatóanyaga, az efanezoktokog-alfa, hasonlít a hiányzó VIII-as faktorra és helyettesíti azt, ezáltal segítve a véralvadást és a vérzési rendellenesség átmeneti szabályozását. Az efanezoktokog-alfát úgy alakították ki, hogy hosszabb ideig aktív maradjon a szervezetben, mint a természetes VIII-as alvadási faktor.

Milyen előnyei voltak az Altuvoct alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Altuvoct hatásosnak bizonyult a súlyos A-típusú hemofíliában szenvedő betegeknél fellépő vérzések megelőzésében és kezelésében.

Egy fő vizsgálatban, amelyben 159, 12 éves és idősebb, súlyos A-típusú hemofíliában szenvedő beteg vett részt, 133 beteg hetente Altuvoct-injekciót kapott a vérzés megelőzésére (profilaxis). 52 hetes kezelést követően a betegeknél évente átlagosan körülbelül 0,70 vérzéses epizód jelentkezett. 77 beteg esetében rendelkezésre álltak a korábbi kezelésekre vonatkozó adatok. Ebben a csoportban a vérzéses epizódok átlagos száma 0,69 volt az Altuvoct esetében, míg körülbelül 3 a korábbi kezeléseknél. A vizsgálat során a legtöbb vérzéses epizódot sikeresen kezelték egyetlen Altuvoct-injekcióval (igény szerinti kezelés).

Egy 74, 12 évesnél fiatalabb, A-típusú hemofíliában szenvedő gyermek részvételével végzett vizsgálatban az Altuvoct-kezelés az idősebb betegekéhez hasonló eredményeket hozott. Az Altuvoct ezért hatásosnak bizonyult az A-típusú hemofília kezelésében fiatalabb gyermekeknek.

A 41 hemofília A-ban szenvedő, nagyobb műtéten átesett beteg részvételével végzett három vizsgálatból származó kombinált adatok azt mutatták, hogy az Altuvoct hatásos a műtét közben, illetve után fellépő vérzéses epizódok megelőzésében.

Milyen kockázatokkal jár az Altuvoct alkalmazása?

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

Az Altuvoct leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás és az ízületi fájdalom. Az Altuvoct egyéb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a hányás, az ekcéma (viszkető, vörös és száraz bőr), a bőrkiütés, a csalánkiütés, a végtagfájdalom, a hátfájás és a láz.

Mint minden VIII-as faktort tartalmazó készítmény esetében, a betegeknél antitestek termelődhetnek az efanezoktokog-alfával szemben, ami a gyógyszer hatástalanságát és a vérzés kontrolljának elvesztését eredményezi. Ilyen esetekben egy hemofília szakközponttal kell felvenni a kapcsolatot.

Miért engedélyezték az Altuvoct forgalomba hozatalát az EU-ban?

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

Az Altuvoct bizonyítottan megelőzi a vérzést az A-típusú hemofíliában szenvedő felnőtteknél és gyermekeknek. Az engedélyezés időpontjában a legtöbb engedélyezett, VIII-as faktort tartalmazó megelőző kezelés 2–4 naponta beadandó injekciót igényelt. Az Altuvoct-t hetente egyszer alkalmazzák, ami kényelmesebb a betegek számára, és segíthet a betegeknek a kezelés betartásában. Az Altuvoct-tal végzett, igény szerinti kezelés hatásos a vérzéses epizódok kezelésében, amelyek többsége egyetlen injekció után elmúlik. Az Altuvoct a műtéti beavatkozáson áteső betegeknél is hatásos a

vérzés megelőzésében. Az Altuvocot mellékhatásai hasonlóak az egyéb VIII-as faktort tartalmazó készítmények mellékhatásaihoz, és kezelhetőnek tekinthetők. A VIII-as alvadási faktor hatásmechanizmusa miatt a VIII-as faktort tartalmazó gyógyszereknél alacsony a tromboembóliás események (vérrögök képződése az erekben) kockázata. Az Altuvocot forgalmazó vállalat tovább fogja vizsgálni ezt a kockázatot az Altuvocot esetében.

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

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

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

Az Altuvocot-tal kapcsolatos egyéb információ

Az Altuvocot-tal kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/altuvocot.