

EMA/642284/2018
EMA/H/C/003855

Coagadex (*X. humán véralvadási faktor*)

A Coagadex nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer a Coagadex és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Coagadex olyan gyógyszer, amelyet az örökletes X. faktor hiányban szenvedő betegeknél fellépő (köztük a műtét alatti és utáni) vérzések kezelésére és megelőzésére alkalmaznak. Az X. faktor hiány egy vérzési rendellenesség, amelyet a normál véralvadáshoz szükséges fehérje, a X. faktor hiánya okoz.

Mivel az X. faktor hiánya „ritkának” minősül, ezért a Coagadex-et 2007. szeptember 14-én „ritka betegségek elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

A Coagadex hatóanyaga az X. humán véralvadási faktor.

Hogyan kell alkalmazni a Coagadex-et?

A Coagadex-et vénába adott injekció formájában alkalmazzák. Az injekciók dózisa és gyakorisága függ az X. faktor hiány súlyosságától, a vérzés mértékétől és elhelyezkedésétől, valamint a beteg állapotától és testtömegétől.

A Coagadex csak receptre kapható, és a kezelést a ritka vérzési rendellenességek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvos felügyelete alatt kell megkezdeni. A betegek megfelelő betanítást követően otthon, maguknak is beadhatják a Coagadex-et. További információért a Coagadex alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót, vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Coagadex?

Az örökletes X. faktor hiányban szenvedő betegeknél hiányzik az X. faktor, egy fehérje, amely a sebből a vérzést megállító vérrög kialakulásához szükséges. Ezeknél a betegeknél a vérrögök nem megfelelően alakulnak ki, ami vérzést és gyengébb sebgógyulást eredményez. A Coagadex

hatóanyagát, a humán X. faktort véradók plazmájából vonják ki. A Coagadex pótolja a hiányzó X. faktort, ezáltal elősegíti a véralvadást, és biztosítja a vérzés ideiglenes kontrollját.

Milyen előnyei voltak a Coagadex alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Coagadex-et egy fő vizsgálatban tanulmányozták, amelyben 16, X. faktor hiányban szenvedő, 12-58 év közötti beteg vett részt. A vizsgálatban a betegek Coagadex-et kaptak a kezelési időszak alatt jelentkező spontán vérzések kezelésére, illetve a műtétek alatti vérzés megelőzésére. A fő hatékonysági mutató a kezelőorvos és a beteg abbéli értékelésén alapult, hogy mennyire jól működött a kezelés a vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében.

Ami a vérzés kezelését illeti, 187 vérzéses epizódot jegyeztek fel és értékelték, és a Coagadex-kezelés a vérzéses epizódok 98,4 %-a esetében „kiváló” vagy „jó” minősítést kapott. A vizsgálat alatt végzett 3 kisműtét esetén a Coagadex-et kiválóan osztályozták a vérzéses epizódok megelőzésében.

Egy 9, 12 év alatti gyermek (beleértve 4, 4 év alatti gyermeket) részvételével készült tanulmányban a Coagadex-szel való 6 hónapos rutin megelőző kezelést kiválóan osztályozták a vérzéses epizódok megelőzésében vagy mérséklésében. A tanulmányban összesen 10 vérzéses esetet jelentettek, melyek közül 4-et Coagadex-szel kezeltek. Egy Coagadex infúzió elegendőnek bizonyult mindegyik vérzés kezeléséhez.

Milyen kockázatokkal jár a Coagadex alkalmazása?

A Coagadex leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) az injekció beadási helyén kialakuló fájdalom vagy vörösség, a fáradékonyság és a hátfájdalom.

A vérzéses rendellenességekkel kezelt betegek esetében ritkán (1 000 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) hiperérzékenység (allergiás reakció) léphet fel, mely bizonyos esetekben súlyos is lehet. Ilyen reakciókat a Coagadex-szel végzett klinikai vizsgálatok során nem jelentettek.

A Coagadex alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Coagadex forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Coagadex alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalomba hozatali engedélye az EU-ban kiadható. Az Ügynökség figyelembe vette az X. faktor hiány specifikus kezeléseinek hiányát, és arra következtetett, hogy a Coagadex hatékonynak bizonyult a betegségben szenvedő betegeknél jelentkező vérzések kezelésében és megelőzésében. A Coagadex mellékhatásait kezelhetőnek és enyhe vagy közepes súlyosságúnak ítélték. Ugyanakkor a betegség rendkívüli ritkasága miatt a biztonságossági adatbázis kis méretű, és a klinikai vizsgálatok során ritka események rögzítése nem várható.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Coagadex biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

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

A Coagadex alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Coagadex alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat

gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Coagadex-szel kapcsolatos egyéb információ

2016. március 16-án a Coagadex megkapta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

További információ a Coagadex gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 08-2018.