



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267634/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*hidrokortizon*)

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

Milyen típusú gyógyszer az Efmody és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Efmody-t egy örökletes betegség, a kongenitális adrenális hiperplázia (CAH) kezelésére alkalmazzák 12 éves és idősebb betegeknél.

Mivel a CAH „ritkának” minősül, ezért az Efmody-t 2005. július 27-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Az Efmody egy „hibrid gyógyszer”, amely hatóanyagként hidrokortizont tartalmaz. Ez azt jelenti, hogy hasonló a referencia-gyógyszerhez abban a tekintetben, hogy ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza, de az Efmody alkalmazása eltér a referencia-gyógyszerétől, és más hatáserősségekben kapható a hatóanyagot időben megnyújtva leadó kapszulák formájában. Az Efmody kapszula referencia-gyógyszere a Hydrocortone tableta.

Hogyan kell alkalmazni az Efmody-t?

Az Efmody módosított hatóanyag-leadású kapszula formájában, csak receptre kapható. A kezelést kizárólag a CAH kezelésében járatos orvos kezdheti meg.

Az Efmody javasolt adagja napi 15 mg-25 mg felnőtteknél és azoknál a serdülőknél, akiknél a növekedés már leállt. A még növekedésben lévő serdülőknél az adag a testtömegtől és a magasságtól függ. A napi adagot szükség szerint módosítani lehet a beteg egyéni válasza alapján. A napi dózis kétharmadát-háromnegyedét este lefekvéskor, legalább 2 órával az utolsó étkezés után, fennmaradó részét pedig reggel, legalább 1 órával étkezés előtt kell bevenni.

Előfordulhat, hogy a betegeknek mentálisan vagy fizikailag stresszes időszakokban, így műtét vagy fertőzések esetén, egy további hidrokortizon tartalmú gyógyszert is kell szedniük.

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



Hogyan fejti ki hatását az Efmody?

A CAH-ban szenvedő betegek szervezete nem képes a természetes kortikoszteroid hormonból, a kortizolból (és néha egy másik hormonból, az aldoszteronból) megfelelő mennyiséget termelni. A kortizol normális esetben a mellékvesékben (kisméretű mirigyek közvetlenül a vesék felett) termelődik, és segít szabályozni más hormonokat, a szervezet stresszre adott válaszát, valamint a sók és a víz egyensúlyát a szervezetben. Emellett a betegeknél a férfi nemi hormonok szintje is megnő, ami növekedési és termékenységi problémákat okozhat.

Az Efmody hidrokortizont, a kortizol szintetikus formáját tartalmazza, és lassan szabadul fel a belekben, pótolva a szervezetben a természetes hormont, hasonlóan a kortizol természetes napi kiválasztásához. Ez segíti a hormonháztartás helyreállítását és a betegség egyéb aspektusainak minimalizálását.

Milyen előnyei voltak az Efmody alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Efmody előnyeit egy 122, CAH-ban szenvedő beteg részvételével végzett fő vizsgálatban igazolták. Az Efmody-t más kortikoszteroid gyógyszerekkel végzett standard kezeléssel hasonlították össze. A hatásosság fő mutatója a 17-OHP szintjén alapuló pontszám volt. Ez egy olyan hormonális anyag, amely a férfi nemi hormonok megnövekedett szintjét jelzi kezeletlen CAH esetén. A pontszám vizsgálat folyamán tapasztalt csökkenése jobb kontrollt jelzett. A vizsgálat 24 hete alatt ez a pontszám 0,403-dal csökkent az Efmody-val kezelt betegeknél, szemben a standard kezelésben részesült betegeknél mért 0,172-del. Ez a különbség azonban nem volt elég nagy annak egyértelmű igazolására, hogy az Efmody hatékonyabb a standard kezelésnél; a mérések a reggeli 17-OHP-szintek jobb kontrolljára is utaltak.

Egy folyamatban lévő, meghosszabbított vizsgálatból származó igazoló adatok azt jelezték, hogy hosszabb távon az Efmody-val fenntartható a CAH kontrollja.

Milyen kockázatokkal jár az Efmody alkalmazása?

Az Efmody leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fáradtság. Az Efmody egyéb gyakori mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, a fokozott étvágy, a szédülés és a súlygyarapodás. A leggyakoribb súlyos mellékhatás az akut mellékvese-elégtelenség (amikor a kortikoszteroid gyógyszerrel nem biztosítható elegendő hidrokortizon a stressz vagy fertőzés esetén jelentkező fokozott kortizol igényre, ami hányásban vagy nagyon rossz közérzetben nyilvánul meg).

Az Efmody alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az Efmody forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Efmody megfelelő kontrollt biztosít a CAH esetében, és az adatok arra utaltak, hogy a hormonegyensúly is javult. A hosszú távú adatok arra utaltak, hogy ez fenntartható, néhány esetben a korábbinál alacsonyabb kortikoszteroid dózist alkalmazva, így csökkentve a hosszú távú kezelés miatti mellékhatások kockázatát. Úgy ítélték meg, hogy a módosított hatóanyag-leadású hidrokortizon klinikai értéket nyújt azáltal, hogy lehetővé teszi az olyan adagolást, amely a természetes kortizol-elválasztás napi ritmusára hasonlít. Az Efmody jelentett mellékhatásai megfelelnek a szájon át szedett hidrokortizon esetén vártakkal. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Efmody alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

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

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

Az Efmody-val kapcsolatos egyéb információ

Az Efmody-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.