



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701116/2017
EMA/H/C/006211

Ekterly (*szebetralsztat*)

Az Ekterly-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Ekterly és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Ekterly egy olyan gyógyszer, amelyet az örökletes angioödémás (duzzanat) rohamok tüneteinek a kezelésére alkalmaznak 12 éves vagy annál idősebb személyeknél. Az örökletes angioödémában szenvedő betegeknek gyors duzzadással járó rohamok alakulnak ki, és a duzzanatok a test bármely részén előfordulhatnak, például az arcon, a torokban, a karokon, a lábakon vagy a bél környékén. Ezek a rohamok életveszélyesek lehetnek.

Az örökletes angioödéma ritka, ezért az Ekterly-t 2022. június 21-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

Az Ekterly hatóanyaga a szebetralsztat.

Hogyan kell alkalmazni az Ekterly-t?

Az Ekterly csak receptre kapható, és a kezelést az örökletes angioödémában szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell előírnia.

A gyógyszer szájon át szedendő tabletta formájában kapható. A roham első jeleinél egy tablettát kell bevenni. Ha a tünetek nem javulnak, rosszabbodnak vagy kiújulnak, az első tabletta bevétele után legalább 3 órával egy második tabletta is bevehető. 24 óra alatt legfeljebb két tabletta vehető be.

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

Hogyan fejti ki hatását az Ekterly?

Az Ekterly hatóanyaga, a szebetralsztat a kallikrein nevű fehérje aktivitásának gátlásával fejti ki hatását. Az örökletes angioödémában szenvedőknél a kallikrein túlzottan aktív, és egy másik, bradikinin nevű fehérje mennyiségének növekedéséhez vezet. A bradikinin hatására a vérerek kitágulnak és kiszivárognak, ami lehetővé teszi a folyadék felgyülemelését a környező szövetekben, ami

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



angioödémás rohamokat okoz. A kallikrein gátlásával az Ekterly csökkenti a roham során termelődő bradikinin mennyiségét, ami megakadályozza annak súlyosbodását.

Milyen előnyei voltak az Ekterly alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálat azt mutatta, hogy az Ekterly a placebóhoz (hatóanyag nélküli kezelés) képest gyorsabban enyhítheti az örökletes angioödémás rohamok tüneteit.

A fő vizsgálatban 110, örökletes angioödémában szenvedő, 12 éves és idősebb személy vett részt. A résztvevők azt az utasítást kapták, hogy egy tablettát Ekterly-t vagy placebót vegyenek be a roham első jeleinél. Legalább 3 óra elteltével egy második tablettát is bevehettek, ha a tünetek nem javultak megfelelően, rosszabbodtak vagy visszatértek. A hatásosság fő mutatója a kezelés után a tünetek javulásának kezdetéig eltelt idő volt, amelyet a beteg által globálisan érzékelt változás skálája (PGI-C) alapján határoztak meg. Az PGI-C skála olyan kérdőív, amelyben a betegeknek meg kell becsülniük, hogy milyen mértékben javultak vagy súlyosbodtak tüneteik a kezelést követően.

A tünetek a kezelés után átlagosan 1,6 órával kezdtek enyhülni az Ekterly-t kapó személyeknél, szemben a placebót kapóknál tapasztalt 6,7 órával.

Milyen kockázatokkal jár az Ekterly alkalmazása?

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

Az Ekterly leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a fejfájás.

Miért engedélyezték az Ekterly forgalomba hozatalát az EU-ban?

Egy fő vizsgálat igazolta, hogy az Ekterly hatásosabb az örökletes angioödémás rohamok tüneteinek enyhítésében, mint a placebo.

Az engedélyezés időpontjában az Ekterly volt az első gyógyszer az örökletes angioödémás rohamok kezelésére, amelyek szájon át szedhetők. Ez kényelmesebb lehetőséget biztosít a betegek számára, mint a gyógyszerek injekcióban történő beadása. Továbbá a tablettát hamarabb is bevehető, miután a betegnél megjelennek a roham tünetei, ami csökkentheti a roham súlyosságát és időtartamát.

Az Ekterly biztonságosságát kis számú betegnél értékelték. A fejfájással járó epizódok enyhe vagy közepesen súlyos intenzitással jártak, és maguktól elmúltak. Összességében a mellékhatások enyhék vagy közepesen súlyosak voltak, és elfogadhatónak tekinthetők. Van azonban némi bizonytalanság azzal kapcsolatban, hogy az Ekterly okozhat-e QT prolongációt (a szív rendellenes elektromos aktivitása, amely befolyásolja a szívritmust). Ezért a gyógyszerre vonatkozó terméktájékoztatóban figyelmeztetés szerepel, amely felhívja a figyelmet erre a potenciális kockázatra a már meglévő QT-prolongációval vagy ismert kockázati tényezőkkel rendelkező személyek esetében.

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

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

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

Az Ekterly-vel kapcsolatos egyéb információ

Az Ekterly-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ekterly.