



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/454740/2024
EMA/H/C/004883

Esperoct (*alfa-turoktokog-pegol*)

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

Milyen típusú gyógyszer az Esperoct és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Esperoct egy, a véralvadást elősegítő fehérje, a VIII-as faktor hiánya miatt kialakuló, örökletes vérzészavarban szenvedő gyermekeknél, serdülőknél és felnőtteknél a vérzés kezelésére és megelőzésére alkalmazott gyógyszer.

Az Esperoct hatóanyaga az alfa-turoktokog-pegol.

Hogyan kell alkalmazni az Esperoct-ot?

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

Az Esperoct-ot vénás injekcióként adják be. A kezelés dózisa, gyakorisága és időtartama attól függ, hogy a vérzés kezelésére vagy megelőzésére alkalmazzák-e, valamint függ a hemofília súlyosságától, a vérzés erősségétől és helyétől, valamint a beteg állapotától és testsúlyától. A betegek vagy gondozóik otthon maguk is beadhatják az Esperoct-ot, miután megfelelő betanításban részesültek.

Az Esperoct alkalmazásával kapcsolatos további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Hogyan fejti ki hatását az Esperoct?

Az A. típusú hemofíliában szenvedő betegeknél hiányzik a normális véralvadáshoz szükséges fehérje, a VIII-as faktor, aminek következtében könnyen véreznek. Az Esperoct hatóanyaga, az alfa-turoktokog-pegol, ugyanúgy viselkedik a szervezetben, mint a humán VIII-as faktor. Pótolja a hiányzó VIII-as faktort, ezáltal elősegíti a véralvadást, és biztosítja a vérzési zavar időleges kontrollját.

A hatóanyag egyik alkotóelemét pegilálják, amely által a polietilén-glikolnak (PEG) nevezett vegyi anyag keletkezik, amelynek feladata annak elősegítése, hogy a gyógyszer hosszabb ideig maradjon a szervezetben és így meghosszabbítsa annak hatását.



Milyen előnyei voltak az Esperoct alkalmazásának a vizsgálatok során?

A vizsgálatok azt mutatták, hogy az Esperoct hatásos a súlyos hemofíliában szenvedő betegeknél jelentkező vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében.

Egy 12 és 66 év közötti betegek részvételével végzett vizsgálatban a megelőző kezelésként négynaponta vagy hetente kétszer Esperoct-tal kezelt 175 betegnél átlagban évente 4 vérzéses epizód fordult elő, elérve a vizsgálat célját, amely kevesebb, mint évi 8,5 epizód volt. Az előforduló vérzéses epizódokat az esetek 94%-ában egy vagy két további injekcióval sikeresen kezelték.

A vizsgálatban részt vevő további tizenkét beteg nem részesült megelőző kezelésben, hanem szükség esetén a vérzés kezelésére kapott Esperoct-ot. Ezeknél a betegeknél évente átlagosan körülbelül 32 vérzéses epizód fordult elő, és 1 vagy 2 Esperoct-injekció az esetek 97%-ában sikeresen elállította a vérzést.

Egy második vizsgálatban, amelyben 68, 12 évesnél fiatalabb olyan gyermek vett részt, akik korábban más VIII-as faktor gyógyszereket kaptak, a megelőző kezelésként alkalmazott Esperoct évente körülbelül 2 vérzéses epizódot okozott a vizsgálat fő részében, 26 hét alatt. A második vizsgálat hosszú távú meghosszabbítása során a gyermekek a becslések szerint évente átlagosan kevesebb mint 1 vérzéses epizódot tapasztaltak; minden vérzést sikeresen kezeltek további Esperoct adagokkal.

Egy harmadik fő vizsgálatban, amelyben 81 olyan 6 év alatti gyermek vett részt, akik korábban nem kaptak VIII-as faktor-gyógyszert, a gyermekek a becslések szerint évente átlagosan 1,8 vérzéses epizódot tapasztaltak; a vérzések 93%-át sikeresen kezelték Esperoct-tal.

Milyen kockázatokkal jár az Esperoct alkalmazása?

Az Esperoct alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Esperoct alkalmazása során túlérzékenységi (allergiás) reakciók fordulhatnak elő; ezek nem gyakoriak (100 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkeznek), de egyes esetekben súlyossá válhatnak. Ezek közé tartozik az injekció beadási helyén fellépő duzzanat, égő és szúró érzés, a hidegrázás, kipirulás, viszkető bőrkiütés, fejfájás, csalánkiütés, alacsony vérnyomás, levertség, émelygés és hányás, nyugtalanság, gyors szívverés, mellkasi szorítás, fülzúgás és sípoló légzés.

Nagyon ritkán előfordulhat, hogy a betegek antitesteket termelnek a gyógyszerben található hörcsögfehérjével szemben, és allergiás reakciókat mutatnak. Az Esperoct nem alkalmazható a hörcsögfehérjével szemben allergiás betegeknél.

A VIII-as faktort tartalmazó készítményekkel – amelyekhez az Esperoct is tartozik – végzett kezelést követően egyes betegek szervezete inhibitorokat (ellenanyagokat) kezd el termelni a VIII-as faktor ellen, ami a gyógyszer hatástalanságát és a vérzés kontrolljának megszűnését eredményezi. Ilyen esetekben egy hemofília szakközponttal kell felvenni a kapcsolatot.

A klinikai vizsgálatokban az Esperoct-kezelést megkezdő olyan, korábban nem kezelt betegek körülbelül egyharmada, akiknél nem alakultak ki inhibitorok a VIII-as faktorra szemben, antitesteket termelt a hatóanyag PEG részével szemben. Ez a VIII-as faktor aktivitásának csökkenéséhez vezetett, ami néhány ilyen betegnél a vérzés kontrolljának elvesztését eredményezte. A VIII-as faktor aktivitási szintje minden olyan betegnél normalizálódott, aki továbbra is Esperoct-kezelésben részesült.

Miért engedélyezték a Esperoct forgalomba hozatalát az EU-ban?

A vizsgálatok azt mutatták, hogy az Esperoct hatásos az A. típusú hemofíliában szenvedő betegeknél jelentkező vérzések megelőzésében és kezelésében. Mivel az Esperoct „pegilált”, az ezzel a gyógyszerrel kezelt betegeket lehet kevesebb injekcióval kezelni, illetve lehetséges a ritkább beadás, mint a FVIII fehérjét tartalmazó hagyományos termékek esetében.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Esperoct alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

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

Az Esperoct-ot forgalmazó vállalat egy vizsgálatot fog végezni, hogy tanulmányozza a PEG agyi plexus chorioideusban és egyéb szervekben való felhalmozódásának lehetséges hatásait.

Az Esperoct 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 Esperoct alkalmazásával kapcsolatos információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. Az Esperoct alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Esperoct-tal kapcsolatos egyéb információ

2019. június 20-án az Esperoct az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

Az Esperoct-ra vonatkozó további információ az Európai Gyógyszerügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esperoct.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 10-2024.