



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/654034/2017
EMA/H/C/000276

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Helixate NexGen

alfa-oktokog

Ez a dokumentum a Helixate NexGen-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Helixate NexGen alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Helixate NexGen alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Helixate NexGen és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Helixate NexGen bármely életkorban, az A-típusú hemofíliában (a VIII-as faktor hiánya által okozott, örökletes vérszavarban) szenvedő betegeknél a vérzés kezelésére és megelőzésére alkalmazott gyógyszer. A Helixate NexGen hatóanyaga az alfa-oktokog (humán VIII-as véralvadási faktor).

Hogyan kell alkalmazni a Helixate NexGen-t?

A Helixate NexGen csak receptre kapható, és a kezelést a hemofília kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie.

A Helixate NexGen por és oldószer formájában kapható, amelyekből egymással összekeverve vénába adható oldatos injekció vagy infúzió készíthető. A kezelés dózisa és időtartama attól függ, hogy a Helixate NexGen-t a vérzés kezelésére, megelőzésére vagy műtét közben alkalmazzák-e, illetve függ a beteg VIII-as faktor szintjétől, a hemofília súlyosságától, a vérzés kiterjedésétől és elhelyezkedésétől, valamint a beteg állapotától és testtömegétől. Az adag módosítására lehet szükség, ha a Helixate NexGen-t folyamatosan, intravénás infúzióként kell alkalmazni. A Helixate NexGen rövid vagy hosszú távú alkalmazásra is alkalmas.



A betegek vagy gondozóik otthon, maguk is beadhatják a Helixate NexGen-t, amint megfelelő oktatásban részesültek. További részletek a betegtájékoztatóban találhatók.

Hogyan fejti ki hatását a Helixate NexGen?

A Helixate NexGen hatóanyaga, az alfa-oktokog (humán VIII-as véralvadási faktor), a véralvadást elősegítő anyag. Az A-típusú hemofiliában szenvedő betegeknél a VIII-as faktor hiányzik, ami olyan véralvadási problémákat okoz, mint például a vérzés az ízületekben, izmokban és a belső szervekben. A Helixate NexGen a hiányzó VIII-as faktor pótlásával helyreállítja a VIII-as faktor hiányt, így átmenetileg szabályozza a vérzésszavart.

Az alfa-oktokogot a „rekombináns DNS-technológia” néven ismert módszerrel állítják elő: sejtek termelik, amelyekbe olyan gént (DNS-t) juttattak, amelynek hatására képes az alfa-oktokog előállítására.

Milyen előnyei voltak a Helixate NexGen alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Helixate NexGen hasonló az EU-ban korábban engedélyezett, Helixate nevű gyógyszerhez, de más úton állítják elő, hogy a készítmény ne tartalmazzon emberi eredetű fehérjét. Emiatt a Helixate NexGen-t a Helixate-tal hasonlították össze, hogy bemutassák a két gyógyszer egyenértékűségét.

A vénába adott injekcióban alkalmazott Helixate NexGen-t 66 olyan beteg esetében vizsgálták, akiket korábban rekombináns humán VIII-as véralvadási faktortal kezeltek, illetve 61 olyan gyermek esetében, akiket korábban nem kezeltek rekombináns humán VIII-as véralvadási faktortal. A vizsgálatokban a fő hatékonysági mutató a minden egyes új vérzés elállításához szükséges kezelések száma volt. A korábban kezelt betegeknél az összes vérzés 95%-a esetében jelentkezett válasz az egy vagy két intravénás Helixate NexGen injekcióra. A korábban nem kezelt betegeknél a vérzéses epizódok körülbelül 90%-a esetében jelentkezett válasz az egy vagy két intravénás injekcióval végzett kezelésre.

A folyamatos infúzióban alkalmazott Helixate NexGen-t 15, A-típusú hemofiliában szenvedő, nagyobb műtéten áteső betegen is vizsgálták. A fő hatékonysági mutató az orvos arra vonatkozó értékelése volt, hogy milyen mértékben állt el a vérzés. Mind a 15 beteg „kiválóként” értékelte a vérzés elállításának mértékét.

Egyes betegek szervezetében VIII-as faktor inhibitorok jelenhetnek meg. Ezek antitestek (fehérjék), amelyeket a szervezet immunrendszere termel a VIII-as faktor ellen, és amelyek megakadályozhatják a gyógyszer hatását, ami a vérzéskontroll elvesztését eredményezi. Vizsgálatot végeztek annak kimutatására, hogy a magas dózisban alkalmazott Helixate NexGen hatékony-e a VIII-as faktortal szembeni antitestek vérből történő kitisztításában (immuntolerancia-indukciónak nevezett eljárás), hogy a VIII-as faktortal való kezelés hatékony maradjon. Az inhibitorokat mutató betegeknél elvégzett immuntolerancia-indukcióra vonatkozó adatokból kiderült, hogy egyes betegeknél előnyös a magas dózis alkalmazása és az inhibitorok elpusztultak, mindamellett az adatok nem voltak elégségesek a gyógyszer ilyen célból történő alkalmazásának jóváhagyására.

Milyen kockázatokkal jár a Helixate NexGen alkalmazása?

A VIII-as faktor készítményekkel kapcsolatban túlérzékenységi (allergiás) reakciókat jelentettek, amelyek egyes esetekben súlyossá válhatnak. Túlérzékenységi bőrreakciók (viszketés, csalánkiütés és

kiütés) gyakran előfordulhatnak (100 beteg közül 1-10-nél), a súlyos allergiás reakciók azonban ritkák (10 000 beteg közül 1-10-nél).

A VIII-as faktor készítményekkel kapcsolatban fennáll annak a kockázata is, hogy egyes betegek szervezete inhibitorokat (antitesteket) kezd el termelni a VIII-as faktor ellen, ami a gyógyszer hatástalanságát és a vérzés kontrolljának elvesztését eredményezi. Ilyen esetekben speciális hemofília centrummal kell felvenni a kapcsolatot.

A Helixate NexGen alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található. A Helixate NexGen nem alkalmazható olyan személyeknél, akikről tudvalevő, hogy túlérzékenyek (allergiások) a humán VIII-as véralvadási faktorról, egér- vagy hőrcsögfehérjével vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben.

Miért engedélyezték a Helixate NexGen forgalomba hozatalát?

Az Ügynökség megállapította, hogy a Helixate NexGen alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását. Az Ügynökség arra a következtetésre jutott, hogy a Helixate NexGen hatékonynak bizonyult az A-típusú hemofíliában szenvedő betegeknél jelentkező vérzések kezelésében és megelőzésében, és biztonságossági profilja elfogadható.

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

A Helixate NexGen 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 Helixate NexGen-nel kapcsolatos egyéb információ

2000. augusztus 4-én az Európai Bizottság a Helixate NexGen-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Helixate NexGen-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Amennyiben a Helixate NexGen-nel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 10-2017.