



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/437002/2020
EMA/H/C/004849

Idefirix (*imlifidáz*)

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

Milyen típusú gyógyszer az Idefirix és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Idefirix a szervezetbe újonnan beültetett vese kilökődésének megelőzésére alkalmazott gyógyszer.

Az Idefirix-et olyan felnőtteknél alkalmazzák a transzplantáció előtt, akiknek szervezetében a donorvese elleni antitestek vannak jelen, és akik a pozitív keresztpróba alapján „nagyértékben szenzitizáltak” minősülnek. A gyógyszert olyan betegek számára kell fenntartani, akiknél kicsi a valószínűsége, hogy szervet kapjanak a jelenlegi veseallokációs rendszer keretében.

Mivel a szolid szerv-átültetés után az átültetett szerv kilökődése „ritkának” minősül, ezért az Idefirix-et 2017. január 12-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3161826>.

Az Idefirix hatóanyaga az imlifidáz.

Hogyan kell alkalmazni az Idefirix-et?

Az Idefirix kizárólag kórházban alkalmazható, és csak receptre kapható. Az Idefirix-kezelést az immun-suppresszív gyógyszerek (a szervezet természetes védekező rendszerének, az immunrendszernek az aktivitását csökkentő gyógyszerek) alkalmazásában, valamint a szenzitizált vesetranszplantációs betegek kezelésében tapasztalt szakorvosnak kell felírnia és felügyelnie.

Az Idefirix vénás infúzióként alkalmazandó. A gyógyszert egyszeri adagban, az átültetést megelőző 24 órában kell alkalmazni. Az első adag után 24 órán belül, szükség esetén egy második adag is adható.

Az Idefirix-szel kezelt betegeknek is szükségük van a veseátültetést követően alkalmazott szokásos immun-suppresszív kezelésre.

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



Hogyan fejti ki hatását az Idefirix?

A nagymértékben szenzitizált betegek szervezetében nagy mennyiségű antitest (a fertőzéseket és más idegen sejteket leküzdő fehérjék a vérben) van jelen a donorszövet ellen, az immunglobulin G (IgG) antitesteket is ideértve. Ennek következtében náluk valószínűbb, hogy a szervezetük kilöki a donorszervet. Az Idefirix hatóanyaga, az imlifidáz egy olyan enzim (fehérje), amely lebontja az IgG antitesteket, ezáltal csökkentve a donorvese kilökődésének valószínűségét.

Milyen **előnyei** voltak az Idefirix alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Idefirix-et egy fő vizsgálatban tanulmányozták, amelybe 19, végstádiumú vesebetegségben szenvedő beteget vontak be, akik a pozitív keresztpróba alapján a donorvesével szemben nagymértékben szenzitizáltak minősültek. Az Idefirix beadását követő 24 órán belül 17 betegnél a keresztpróba negatív lett, egy további betegnél pedig a keresztpróba határvonal-pozitív lett, így mind a 18 beteg alkalmassá vált a veseátültetésre. Összesen 16 beteg veséje volt működőképes az átültetés után 6 hónappal.

Az Idefirix előnyeire vonatkozó további adatok három alátámasztó vizsgálatból származtak. A négy vizsgálatból származó adatok elemzése azt mutatta, hogy az összesen 46 beteg közül 43 veséje volt működőképes az átültetés után 6 hónappal.

Milyen kockázatokkal jár az Idefirix alkalmazása?

Az Idefirix leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fertőzések, beleértve a tüdőgyulladást, a húgyúti fertőzés és a vérmérgezés. Egyéb gyakori mellékhatások (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) az infúzió beadásának helyén kialakuló fájdalom és reakciók, bizonyos májenzimek emelkedett vérszintje, izomfájdalom, fejfájás és a kipirulás.

Az Idefirix leggyakoribb súlyos mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a tüdőgyulladás és a vérmérgezés.

Az Idefirix nem alkalmazható súlyos fertőzésben vagy trombotikus trombocitopéniás purpurában szenvedő személyeknél.

A mellékhatások és korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az Idefirix forgalomba hozatalát az EU-ban?

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

A veseelégtelenségben szenvedő betegeknél a donor transzplantátum elleni antitestek jelenléte a sikeres átültetés komoly akadályát jelenti. A nagymértékben szenzitizált betegeket ezért általában továbbra is dializálják, élettartamuk várhatóan rövidebb, életminőségük pedig rosszabb lesz. Tekintettel a kielégítetlen kezelési igényre, és a további adatok szükségessége ellenére, az Ügynökség úgy vélte, hogy a rendelkezésre álló bizonyítékok arra utalnak, hogy az Idefirix hatásos a nagymértékben szenzitizált felnőtteknél az antitestszint csökkentésében, és lehetővé teszi számukra a veseátültetést. Az Idefirix biztonságossági profilját kezelhetőnek tartották.

Az Idefirix-et „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyek benyújtására kötelezték a vállalatot. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még az Idefirix-szel kapcsolatban?

Mivel az Idefirix-et feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték, az Idefirix-et forgalmazó vállalat további adatokat fog benyújtani egy folyamatban lévő vizsgálatból, amelyben az Idefirix-kezelést követően veseátültetésen átesett betegek hosszú távú veseműködését és túlélését tanulmányozták. A vállalat továbbá az Idefirix hosszú távú hatásosságának és biztonságosságának alátámasztására egy új vizsgálatból származó adatokat is be fog nyújtani.

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

Az Idefirix-et forgalmazó vállalat be fogja nyújtani az Idefirix hosszú távú vizsgálatának eredményeit a hatásosság alátámasztására.

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

Az Idefirix-szel kapcsolatos egyéb információ

Az Idefirix-szel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/idefirix.