



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/319898/2023
EMA/H/C/004178

Refixia (*béta-nonakog-pegol*)

A Refixia-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Refixia és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Refixia a B típusú hemofiliában szenvedő betegeknél a vérzések kezelésére és megelőzésére alkalmazott gyógyszer. Ez egy örökletes vérzési rendellenesség, amelyet a IX-es faktor – a véralvadáshoz és a vérzés megállításához szükséges fehérje – hiánya okoz.

A Refixia hatóanyaga a béta-nonakog-pegol.

Hogyan kell alkalmazni a Refixia-t?

A Refixia csak receptre kapható, és a kezelést a hemofília kezelésében jártas orvos felügyelete mellett kell végezni.

A Refixia-t vénás injekcióban kell beadni. Az adag és a kezelés gyakorisága attól függ, hogy a Refixia-t a vérzés kezelésére vagy megelőzésére, illetve a műtét közbeni vérzés csillapítására alkalmazzák-e, továbbá a vérzés kiterjedésétől és helyétől, valamint a beteg testtömegétől.

A betegek vagy gondozóik otthon, saját maguk is beadhatják a Refixia-t, amint megfelelő oktatásban részesültek. További információ a betegtájékoztatóban található.

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

Hogyan fejti ki hatását a Refixia?

A B típusú hemofiliában szenvedő betegeknél hiányzik a normális véralvadáshoz szükséges egyik fehérje, a IX-es faktor, ennek következtében pedig könnyen véreznek. A Refixia hatóanyaga, a béta-nonakog-pegol ugyanúgy fejti ki hatását a szervezetben, mint a humán IX-es faktor. Pótolja a hiányzó IX-es faktort, ezáltal elősegíti a véralvadást és ideiglenesen kontrollálja a vérzést.

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



Milyen előnyei voltak a Refixia alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Refixia egyaránt hatásosnak bizonyult a vérzéses epizódok kezelésében és az epizódok számának alacsony szinten tartásában.

Egy, összesen 74 felnőtt, valamint 13 éves és idősebb serdülő részvételével végzett vizsgálatban annál a 29 betegnél, akik heti megelőző kezelésként Refixia-t kaptak, évente körülbelül egy vérzéses epizód jelentkezett, annál a 15 betegnél pedig, akik a vérzés kezelésére szükség szerint kapták a Refixia-t, évente körülbelül 16 vérzéses epizód jelentkezett. Ezenfelül vérzés kialakulása esetén a Refixia-t kiválónak vagy jónak értékelték a vérzéses epizódok körülbelül 92%-ának a kezelésében. A vérzéses epizódok 87%-a megszűnt egyetlen Refixia-injekció hatására.

A második vizsgálatban, amelyben 25, 13 évesnél fiatalabb olyan gyermek vett részt, akit korábban más IX-es faktor készítményekkel kezeltek, minden beteg Refixia-t kapott heti megelőző kezelésként. Egy év kezelést követően a betegeknek évente körülbelül 1 vérzéses epizód fordult elő. A Refixia-t kiválónak vagy jónak értékelték a vérzéses epizódok körülbelül 93%-ának a kezelésében. A vérzéses epizódok körülbelül 86%-a megszűnt egyetlen injekció hatására. A vizsgálatból a Refixia hosszú távú alkalmazására vonatkozó adatokat is benyújtottak. A Refixia-val végzett legfeljebb 8 éves kezelés alatt a vérzések átlagos éves száma 0,9 volt. A Refixia-t kiválónak vagy jónak értékelték a vérzéses epizódok körülbelül 89%-ának a kezelésében. A vérzéses epizódok mintegy 82%-a megszűnt egyetlen Refixia-injekció hatására.

Egy harmadik vizsgálatban, amelyben 50 olyan, 7 év alatti gyermek vett részt, akiket korábban nem kezeltek más IX-es faktor készítményekkel, a Refixia-t heti megelőző kezelésként alkalmazták. A Refixia-val végzett legfeljebb 6 éves kezelés alatt a vérzések átlagos éves száma 0,7 volt. A Refixia-t kiválónak vagy jónak értékelték a vérzéses epizódok körülbelül 96%-ának a kezelésében. A vérzéses epizódok mintegy 91%-a megszűnt egyetlen Refixia-injekció hatására.

Mindkét, gyermekeknél végzett vizsgálat eredményei azt is igazolták, hogy körülbelül 6 év Refixia-kezelést követően a betegeknek a IX-es faktor olyan szinteken stabilizálódott, amelyek az enyhe hemofíliában szenvedő betegeknek várható tartományba estek.

Milyen kockázatokkal jár a Refixia alkalmazása?

A Refixia alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegájékoztatóban található.

A Refixia alkalmazása kapcsán nem gyakoriak a túlérzékenységi (allergiás) reakciók (100 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet), amelyek a következőket foglalják magukban: duzzanat, égő és szúró érzés az injekció beadásának helyén, hidegrázás, kipirulás, viszkető bőrkkiütés, fejfájás, csalánkiütés, alacsony vérnyomás, letargia, émelygés és hányás, nyugtalanság, gyors szívverés, mellkasi szorítás és sípoló légzés. Egyes esetekben ezek a reakciók súlyossá válhatnak.

Egyes, IX-es faktor készítményeket szedő betegeknek gátlótestek (ellenanyagok) alakulhatnak ki a IX-es faktor ellen, ami a gyógyszer hatástalanságát és a vérzés kontrolljának elvesztését eredményezi. A IX-es faktor gyógyszerek továbbá a vérerekben kialakuló vérrögök miatt is okozhatnak problémákat.

A Refixia nem alkalmazható olyan betegeknek, akik allergiásak a béta-nonakog-pegolra vagy a gyógyszer bármely összetevőjére, valamint olyan betegeknek, akik ismerten allergiásak a hörcsögféhrjével szemben.

Miért engedélyezték a Refixia forgalomba hozatalát?

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

A vizsgálatok igazolták, hogy a Refixia hatásos a vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében a B típusú hemofíliában szenvedő betegeknél, és biztonságossága összehasonlítható az egyéb IX-es faktor készítményekével. Ugyanakkor a Refixia hatóanyagának egy része (az úgynevezett PEG) hosszú távú kezelést követően felhalmozódhat a szervezetben, beleértve az agyban található egyik struktúrát, a plexus choroideust.

A Refixia hosszú távú alkalmazása 13 évesnél fiatalabb gyermekeknél a vérzések alacsony éves számát eredményezte. Ezenfelül úgy vélték, hogy a Refixia védelmet biztosít a vérzéses epizódokkal szemben azáltal, hogy stabil IX-es faktor szinteket eredményez azoknál a 13 év alatti gyermekeknél, akik a vérzések megelőzése érdekében kapták a gyógyszert. A Refixia alkalmazását 12 év alatti gyermekek számára korábban nem engedélyezték, mivel aggályok merültek fel a PEG kisgyermekek szervezetében történő felhalmozódásával kapcsolatban. A vizsgálatokból származó átfogó adatok, beleértve a hosszú távú alkalmazásra vonatkozó adatokat is, nem mutattak semmilyen összefüggést a PEG felhalmozódása miatti idegrendszeri mellékhatásokkal.

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

A Refixia-t forgalmazó vállalat egy vizsgálatot fog végezni, hogy tanulmányozzák az agy plexus choroideusában és az egyéb szervekben a PEG felhalmozódásának potenciális hatásait.

A Refixia biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegájékoztatóban.

A Refixia-val kapcsolatos egyéb információ

2017. június 2-án a Refixia az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Refixia-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/refixia

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 07-2023.