



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/663763/2014
EMA/H/C/003771

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Rixubis

nonakog gamma

Ez a dokumentum a Rixubis-ra 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 Rixubis alkalmazására vonatkozóan.

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

Milyen típusú gyógyszer a Rixubis, és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Rixubis a vérzés kezelésére és megelőzésére szolgál hemofília B-ben (a IX. faktor hiánya miatt kialakuló, öröklött vérszervizavar) szenvedő betegeknél. Bármilyen életkorú betegnél alkalmazható, rövid vagy hosszú távú kezelésre. A Rixubis hatóanyaga a nonakog gamma.

Hogyan kell alkalmazni a Rixubis-t?

A Rixubis csak receptre kapható, és a kezelést a hemofília kezelésében jártas orvos felügyelete alatt kell megkezdeni.

A Rixubis por és oldószer formájában kapható, amelyeket összekeverve vénás oldatos injekciót kapunk. A kezelés dózisa és gyakorisága a beteg testsúlyától és attól függ, hogy a Rixubis-t a vérzés kezelésére vagy megelőzésére alkalmazzák-e, valamint a hemofília súlyosságától, a vérzés kiterjedésétől és elhelyezkedésétől, továbbá a beteg korától és egészségi állapotától. A további információkat lásd az alkalmazási előírásban (amely szintén az EPAR részét képezi).



Megfelelő oktatásukat követően a betegek vagy gondozóik otthon, maguk is beadhatják a Rixubis-t. Részletes információk a betegtájékoztatóban találhatók.

Hogyan fejti ki hatását a Rixubis?

A hemofília B-ben szenvedő betegeknél hiányzik a IX. faktor, amely a megfelelő véralvadáshoz szükséges. Ez a hiány véralvadási problémákat okoz, például vérzést az ízületekben, izmokban vagy belső szervekben. A Rixubis hatóanyaga, a nonakog gamma, a humán IX. faktor egy változata, és ugyanolyan módon segíti elő a véralvadást. Ezért a Rixubis felhasználható a hiányzó IX. faktor helyettesítésére, biztosítva a vérzészavar átmeneti kontrollját.

A nonakog gammát nem az emberi vérből vonják ki, hanem a „rekombináns DNS-technológia” néven ismert módszerrel állítják elő: hőrscögsejtek termelik, amelyekbe olyan gént (DNS-t) építettek be, amely képessé teszi a sejteket a humán véralvadási faktor termelésére.

Milyen előnyei voltak a Rixubis alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Rixubis alkalmazásának előnyeit a vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében három fő vizsgálatban igazolták, amelyekben súlyos vagy közepesen súlyos hemofília B-ben szenvedő betegek vettek részt. Egyik vizsgálatban sem hasonlították össze a Rixubis hatékonyságát közvetlenül egy másik gyógyszerrel. A vérzés leállításában mutatott hatékonyságát egy standard skálán mérték, ahol a „kitűnő” teljes fájdalomcsillapítást és a vérzés minden jelének megszűnését jelentette a gyógyszer egyszeri adagjának alkalmazását követően, a „jó” pedig a fájdalom csillapodását és a javulás jeleit jelentette egyszeri adag alkalmazása mellett, bár a tünetek teljes megszűnéséhez esetleg további adagok alkalmazására is szükség lehetett.

Az első vizsgálatban, amelyben 73, 12 és 59 év közötti beteg vett részt, 249 vérzéses epizódot kezeltek Rixubis-szal. A kezelés hatását a vérzéses epizódok leállítására az esetek 41%-ában kitűnőként, az esetek további 55%-ában jóként értékelték. A vérzés megelőzése tekintetében az átlagos vérzési arány a kezelés alatt évi 4,26 volt, szemben a beválasztás előtti évi 17-es átlaggal. A második vizsgálatban 23, éppen csak 2 év alatti életkor és majdnem 12 éves életkor közötti gyermek vett részt, akiknél a vizsgálat alatt 26 vérzéses epizód jelentkezett: a vérzéses epizódok kezelését az esetek 50%-ában kitűnőként, az esetek egy másik 46%-ában pedig jóként értékelték, és az átlagos vérzési arány évi 6,8 vérzésről évi 2,7-re csökkent. A harmadik vizsgálatban a Rixubis-t 14, műtéti beavatkozáson áteső betegnél alkalmazták; a Rixubis-szal végzett kezelés a műtét alatti vérvesztéséget a hemofília B-ben nem szenvedő betegek esetében várható szinten tartotta.

Az e vizsgálatok során kapott eredmények értékelése azt mutatja, hogy a Rixubis egy másik jóváhagyott IX. faktor készítményhez hasonlóan oszlik el a szervezetben.

Milyen kockázatokkal jár a Rixubis alkalmazása?

A Rixubis leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a diszgeúzia (az ízérzékelés zavara) és a végtagfájdalom. Ritkán túlérzékenységi (allergiás) reakciók fordulhatnak elő, és ezek közé a következők tartozhatnak: angioödéma (a bőr alatti szövetek duzzanata), égető vagy szúró érzés az injekció beadásának helyén, hidegrázás, bőrpír, viszkető bőrkütiés, fejfájás, csalánkiütés, hipotenzió (alacsony vérnyomás), fáradtság- vagy nyugtalanságérzés, hányinger (émelygés) vagy hányás, nyugtalanság, tachikardia (szapora szívverés), mellkasi szorítás, sípoló légzés és bizsergő érzés. Egyes esetekben a reakciók súlyossá válnak (anafilaxia), és veszélyesen

hirtelen vérnyomásesések társulhatnak hozzájuk. A Rixubis összes mellékhatásának teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Rixubis nem alkalmazható olyan betegeknek, akik túlérzékenyek (allergiások) a nonakog gammával, vagy annak bármely egyéb összetevőjével szemben, illetve akik ismertén allergiások a hõrcsõgfehérjékre.

Miért engedélyezték a Rixubis forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Rixubis alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását. A Bizottság arra a véleményre jutott, hogy a Rixubis bizonyítottan hatékony a vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében hemofília B-ben szenvedő felnőtteknél és gyerekeknél, és hatékony műtétjeik biztonságos elvégzésének lehetővé tételében is. A biztonságossági profil elfogadhatónak volt tekinthető, és túlsúlyban voltak benne a kedvező hatások.

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

A Rixubis lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Rixubis-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

További információ a [kockázatkezelési terv összefoglalójában](#) található.

A Rixubis-szal kapcsolatos egyéb információ

2014. december 19-án az Európai Bizottság a Rixubis-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Rixubis-ra vonatkozó teljes EPAR és kockázatkezelési terv összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.

Amennyiben a Rixubis-szal 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: 2015. január.