

EMA/591490/2015
EMEA/H/C/000139

Riassunto destinato al pubblico

BeneFIX

nonacog alfa

Questo è il riassunto di una relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per BeneFIX. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di BeneFIX.

Che cos'è BeneFIX?

BeneFIX è un medicinale che contiene il principio attivo nonacog alfa. È disponibile sotto forma di polvere e solvente mescolati assieme per formare una soluzione iniettabile.

Per che cosa si usa BeneFIX?

BeneFIX è usato per il trattamento e la prevenzione delle emorragie in adulti e bambini affetti da emofilia B (patologia emorragica ereditaria). BeneFIX può essere usato a breve termine o a lungo termine.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa BeneFIX?

Il trattamento con BeneFIX deve essere iniziato da un medico esperto nel trattamento dell'emofilia. Durante il trattamento il medico dovrebbe effettuare regolarmente analisi del sangue allo scopo di regolare la dose da somministrare.

BeneFIX viene somministrato mediante iniezione lenta in vena, di solito fino a una velocità che va fino a 4 ml al minuto e non dev'essere miscelata ad altre infusioni o somministrata usando un kit diverso da quello fornito con il farmaco. La dose e la frequenza d'iniezione dipendono dalle condizioni del paziente e variano a seconda che BeneFIX sia usato per trattare l'emorragia o per prevenirla oppure per ridurre un'emorragia durante un intervento chirurgico. La dose va regolata in funzione della gravità e del sito



dell'emorragia o del tipo di intervento chirurgico. Informazioni dettagliate su come calcolare la dose sono disponibili nel riassunto delle caratteristiche del prodotto.

BeneFIX può essere iniettato dal paziente stesso o da altre persone, purché abbiano ricevuto istruzioni appropriate.

Come agisce BeneFIX?

Il principio attivo di BeneFIX, nonacog alfa, è una proteina detta fattore di coagulazione del sangue (una sostanza che aiuta il sangue a rapprendersi). I pazienti affetti da emofilia B soffrono della mancanza di una proteina chiamata fattore IX, che contribuisce alla coagulazione del sangue. La carenza del fattore IX causa problemi al rapprendimento del sangue, come emorragie alle articolazioni, ai muscoli e agli organi interni. BeneFIX è usato per sostituire il fattore IX mancante. Permette di rimediare alla carenza di fattore IX e di controllare temporaneamente i disturbi emorragici.

Nonacog alfa non è estratto dal sangue umano ma è prodotta con la cosiddetta 'tecnologia del DNA ricombinante', cioè inserendo un gene (DNA) nelle cellule che diventano così in grado di produrre eptotermina alfa.

Quali studi sono stati effettuati su BeneFIX?

BeneFIX è stato studiato in pazienti precedentemente trattati affetti da emofilia B di grado moderato o grave, per finalità di prevenzione oppure per trattare episodi di sanguinamento durante e dopo un intervento chirurgico. È stato anche studiato in pazienti che non hanno ricevuto nessun trattamento per l'emofilia. In questi studi è stato valutato il numero di episodi emorragici verificatisi ed è stata determinata l'efficacia di BeneFIX usando una scala da "nessuna risposta" a "eccellente".

Quali benefici ha mostrato BeneFIX nel corso degli studi?

Nei pazienti precedentemente trattati, l'82% delle 693 emorragie trattate sono state risolte dopo una sola infusione di BeneFIX. Su 972 infusioni, l'84% sono state giudicate con risposta "buona" o "ottima".

Qual è il rischio associato a BeneFIX?

Nei pazienti trattati con prodotti contenenti il fattore IX sono state osservate reazioni di ipersensibilità (allergia) che talvolta possono essere gravi. Esse comprendono angioedema (tumescenza del volto e delle membra), bruciore e fitte nel sito di iniezione, brividi, rossore, orticaria (esantema pruriginoso), mal di testa, orticaria, ipotensione (bassa pressione del sangue), letargia, nausea, irrequietezza, tachicardia (battiti cardiaci veloci), costrizione toracica, formicolio, vomito e sibilo respiratorio. I pazienti affetti da emofilia B possono anche sviluppare anticorpi neutralizzanti (inibitori) del fattore IX. Nel caso dello sviluppo di anticorpi, BeneFIX perde di efficacia e ciò può condurre ad una perdita del controllo delle emorragie. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati osservati con BeneFIX, vedere il foglio illustrativo.

BeneFIX non deve essere utilizzato in soggetti che sono ipersensibili (allergici) al fattore IX di coagulazione ricombinante, a uno qualsiasi degli altri ingredienti, oppure alle proteine di criceto.

Perché è stato approvato BeneFIX?

Il CHMP ha deciso che i benefici di BeneFIX sono superiori ai rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di BeneFIX?

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che BeneFIX sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di BeneFIX sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Altre informazioni su BeneFIX

Il 27 agosto 1997 la Commissione europea ha concesso l'autorizzazione all'immissione in commercio in tutta l'Unione europea per BeneFIX.

Per la versione completa dell'EPAR di BeneFIX consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con BeneFIX, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 09-2015.