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

Riassunto destinato al pubblico

Helixate NexGen

octocog alfa

Medicinale non più autorizzato

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Helixate NexGen. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Helixate NexGen.

Per informazioni pratiche sull'uso di Helixate NexGen i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Helixate NexGen?

Helixate NexGen è un medicinale usato nel trattamento e nella prevenzione dell'emorragia in pazienti di tutte le età affetti da emofilia A (un disturbo emorragico ereditario causato da un deficit del fattore VIII). Contiene il principio attivo octocog alfa (fattore VIII di coagulazione umano).

Come si usa Helixate NexGen?

Helixate NexGen può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nel trattamento dell'emofilia.

Helixate NexGen è disponibile sotto forma di una polvere e un solvente che, miscelati, formano una soluzione per iniezione o infusione (flebo) in vena. La dose e la durata della terapia variano a seconda che Helixate NexGen sia utilizzato per curare o prevenire l'emorragia o durante l'intervento chirurgico e dipendono dai livelli di fattore VIII nel paziente, dalla gravità dell'emofilia, dall'entità e dalla sede dell'emorragia, nonché dalle condizioni di salute e dal peso del paziente. Un adeguamento del dosaggio può rivelarsi necessario se Helixate NexGen deve essere costantemente somministrato come infusione in vena. Helixate NexGen è destinato all'uso a breve termine o a lungo termine.

I pazienti o le persone che si prendono cura di loro possono somministrarsi o farsi somministrare Helixate NexGen a casa dopo aver ricevuto opportune istruzioni. Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

7 Westferry Circus ● Canary Wharf ● London E14 4HB ● United Kingdom
Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416
E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu
An agency of the European Union

© European Medicines Agency, 2017. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Come agisce Helixate NexGen?

Il principio attivo in Helixate NexGen, octocog alfa (fattore VIII di coagulazione umano), è una sostanza che aiuta il sangue a coagulare. I pazienti affetti da emofilia A sono privi di fattore VIII, il che causa problemi di coagulazione del sangue, ad esempio emorragia nelle articolazioni, nei muscoli e negli organi interni. Helixate NexGen è usato per correggere la carenza del fattore VIII: sostituendo il fattore VIII mancante, permette di controllare temporaneamente i disturbi emorragici.

Octocog alfa è prodotto con un metodo noto come "tecnologia del DNA ricombinante", ossia coltivando cellule in cui è stato immesso un gene (DNA) che consente loro di produrlo.

Quali benefici di Helixate NexGen sono stati evidenziati negli studi?

Helixate NexGen è analogo a un altro medicinale già autorizzato nell'Unione europea (UE) denominato Helixate, ma è preparato in modo diverso per evitare che vi siano proteine umane nel medicinale. Per questo motivo, Helixate NexGen è stato confrontato con Helixate per dimostrare che i due medicinali sono equivalenti.

Helixate NexGen somministrato mediante iniezione endovenosa è stato studiato in 66 pazienti trattati in precedenza con il fattore VIII della coagulazione umana ricombinante e in 61 bambini che non erano stati trattati in precedenza. Il principale parametro dell'efficacia negli studi è stato il numero di trattamenti necessari per interrompere ciascun nuovo episodio emorragico. Nel complesso, nei pazienti trattati in precedenza, il 95 % delle emorragie ha risposto a una o due iniezioni endovenose di Helixate NexGen. Nei pazienti non trattati in precedenza, circa il 90 % degli episodi emorragici ha risposto dopo una o due iniezioni endovenose.

Helixate NexGen in infusione continua è stato studiato anche in 15 pazienti affetti da emofilia A sottoposti a interventi chirurgici importanti. Il principale parametro dell'efficacia è stato la valutazione del medico in merito alla riuscita dell'arresto dell'emorragia, la cui cessazione è stata ritenuta "eccellente" in tutti e 15 i pazienti.

Alcuni pazienti possono sviluppare inibitori del fattore VIII, ossia anticorpi (proteine) che il sistema immunitario dell'organismo produce contro il fattore VIII e che rendono inefficace il medicinale, con una conseguente perdita di controllo sull'emorragia. Helixate NexGen somministrato a dosi elevate è stato studiato per appurare se sia in grado di eliminare efficacemente dal sangue gli anticorpi del fattore VIII (un processo noto come induzione dell'immunotolleranza) in modo tale che il trattamento con il fattore VIII rimanga efficace. I dati sull'induzione dell'immunotolleranza nei pazienti con inibitori hanno mostrato che alcuni pazienti traggono beneficio dal trattamento a dosi elevate e che è stato possibile eliminare l'inibitore. Tuttavia, i dati non sono stati considerati sufficienti per un'approvazione specifica del medicinale per questo utilizzo.

Quali sono i rischi associati a Helixate NexGen?

Nei medicinali a base di fattore VIII sono state riscontrate reazioni di ipersensibilità (allergia) che in alcuni casi possono diventare anche gravi. Le reazioni di ipersensibilità associate alla pelle (sensazione di prurito, orticaria ed eruzione cutanea) possono verificarsi comunemente (tra 1 e 10 pazienti su 100), ma una reazione allergica grave è rara (tra 1 e 10 pazienti su 10 000).

Con i medicinali a base di fattore VIII sussiste anche il rischio che alcuni pazienti sviluppino inibitori (anticorpi) contro tale fattore; pertanto, il medicinale potrebbe diventare inefficace, con conseguente

Medicinale non più autorizzato

perdita di controllo sull'emorragia. In questi casi si raccomanda di rivolgersi a un centro specializzato nel trattamento dell'emofilia.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Helixate NexGen, vedere il foglio illustrativo. Helixate NexGen non deve essere utilizzato in soggetti che sono ipersensibili (allergici) al fattore VIII di coagulazione umano, alle proteine di topo o criceto o ad altri ingredienti del medicinale.

Perché Helixate NexGen è approvato?

L'Agenzia ha deciso che i benefici di HelixateNexGen sono superiori ai rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale. L'Agenzia ha concluso che Helixate NexGen si è rivelato efficace nel trattamento e nella prevenzione dell'emorragia nei pazienti affetti da emofilia A e possiede un profilo di sicurezza accettabile.

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

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Helixate NexGen sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Helixate NexGen

Il 4 agosto 2000 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Helixate NexGen, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Helixate NexGen consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Helixate NexGen, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 10-2017.

Medicinale non più autorizzato