



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refixia (*nonacog beta pegilato*)

Sintesi di Refixia e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Refixia e per che cosa si usa?

Refixia è un medicinale usato per il trattamento e la prevenzione del sanguinamento nei pazienti affetti da emofilia B, un disturbo emorragico ereditario causato dalla mancanza del fattore IX, una proteina necessaria alla formazione di coaguli di sangue atti a fermare il sanguinamento.

Refixia contiene il principio attivo nonacog beta pegilato.

Come si usa Refixia?

Refixia può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere seguito sotto la supervisione di un medico esperto nella cura dell'emofilia.

Refixia è somministrato mediante iniezione in vena. La dose e la frequenza del trattamento dipendono dal fatto che Refixia sia usato per trattare o per prevenire un episodio emorragico oppure per ridurre il sanguinamento durante un intervento chirurgico, oltre che dall'entità e dalla localizzazione dello stesso e dal peso corporeo del paziente.

I pazienti o coloro che li assistono possono essere in grado di praticare l'iniezione di Refixia a casa, purché opportunamente istruiti. Per ulteriori dettagli, vedere il foglio illustrativo.

Per maggiori informazioni sull'uso di Refixia, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Refixia?

Ai pazienti affetti da emofilia B manca il fattore IX, una proteina necessaria per la normale coagulazione del sangue. Di conseguenza, tali pazienti sanguinano facilmente. Il principio attivo di Refixia, nonacog beta pegilato, agisce nell'organismo allo stesso modo del fattore umano IX.

Sostituisce il fattore IX mancante, favorendo in tal modo la coagulazione del sangue e permettendo un controllo temporaneo del sanguinamento.

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



Quali benefici di Refixia sono stati evidenziati negli studi?

È stato dimostrato che Refixia è efficace sia nel trattamento di episodi emorragici sia nella limitazione del numero di tali episodi.

In uno studio effettuato su 74 adulti e adolescenti di età pari o superiore a 13 anni, 29 pazienti ai quali era stato somministrato Refixia come trattamento preventivo settimanale hanno manifestato circa 1 episodio emorragico l'anno; inoltre, 15 pazienti ai quali era stato somministrato Refixia per il trattamento di sanguinamenti "al bisogno" hanno manifestato circa 16 episodi emorragici l'anno. Inoltre, in tali evenienze, Refixia è stato valutato eccellente o buono nel trattamento di circa il 92 % degli episodi emorragici. L'87% degli episodi emorragici si è risolto con un'unica iniezione di Refixia.

Nel secondo studio, condotto su 25 bambini di età inferiore ai 13 anni trattati in precedenza con altri medicinali a base di fattore IX, Refixia è stato somministrato a tutti i pazienti come trattamento preventivo settimanale. Dopo un anno di trattamento i pazienti hanno manifestato circa 1 episodio emorragico l'anno. Refixia è stato valutato eccellente o buono nel trattamento di circa il 93 % degli episodi emorragici. Circa l'86% degli episodi emorragici si è risolto con un'unica iniezione. Mediante lo studio si sono inoltre acquisiti dati sull'uso a lungo termine di Refixia. Durante i trattamenti con Refixia per un periodo fino a 8 anni il tasso medio annuo di sanguinamento è stato di 0,9 episodi l'anno. Refixia è stato valutato eccellente o buono nel trattamento di circa il 89 % degli episodi emorragici. L'82 % circa degli episodi emorragici si è risolto con un'unica iniezione di Refixia.

In un terzo studio, condotto su 50 bambini di età inferiore ai 7 anni che in precedenza non erano stati trattati con altri medicinali a base di fattore IX, Refixia è stato somministrato come trattamento preventivo settimanale. Durante i trattamenti con Refixia per un periodo fino a 6 anni il tasso medio annuo di sanguinamento è stato di 0,7 episodi l'anno. Refixia è stato valutato eccellente o buono nel trattamento di circa il 96 % degli episodi emorragici. Il 91 % circa degli episodi emorragici si è risolto con un'unica iniezione di Refixia.

I risultati di entrambi gli studi sui bambini hanno anche evidenziato che, dopo circa 6 anni di trattamento con Refixia, i pazienti raggiungevano livelli stabili di fattore IX che rientravano nell'intervallo atteso per i pazienti affetti da emofilia lieve.

Quali sono i rischi associati a Refixia?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Refixia, vedere il foglio illustrativo.

Reazioni da ipersensibilità (reazioni allergiche, che possono riguardare fino a 1 paziente su 100) sono non comuni con Refixia e possono includere: tumefazione, bruciore e dolore pungente in sede di iniezione, brividi, rossore, esantema pruriginoso, cefalea, orticaria, pressione arteriosa bassa, letargia, nausea e vomito, irrequietezza, tachicardia, costrizione toracica e respiro sibilante. In alcuni casi queste reazioni possono diventare gravi.

Alcuni pazienti che assumono medicinali a base di fattore IX possono sviluppare inibitori (anticorpi) dello stesso fattore IX, che rendono inefficace il medicinale con conseguente perdita di controllo dell'emorragia. I medicinali a base di fattore IX potrebbero, inoltre, causare problemi dovuti alla formazione di coaguli di sangue nei vasi sanguigni.

Refixia non deve essere usato in pazienti allergici a nonacog beta pegilato o a uno qualsiasi degli ingredienti del medicinale, né in pazienti con allergia nota alle proteine di criceto.

Perché Refixia è approvato?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Refixia sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Gli studi hanno evidenziato che Refixia è efficace nella prevenzione e nel trattamento di episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia B e che la sua sicurezza è paragonabile a quella di altri medicinali a base di fattore IX. Tuttavia, in caso di trattamento a lungo termine parte del principio attivo di Refixia (denominata PEG) può accumularsi nell'organismo, tra cui in una struttura nel cervello denominata plesso corioideo.

Con l'uso a lungo termine di Refixia nei bambini di età inferiore ai 13 anni si è constatato un tasso di sanguinamento annuale basso. Inoltre, si è ritenuto che Refixia avesse un effetto protettivo contro gli episodi emorragici generando livelli stabili di fattore IX in bambini di età inferiore a 13 anni ai quali era stato somministrato per prevenire il sanguinamento. In precedenza Refixia non era autorizzato per i pazienti di età inferiore ai 12 anni a causa di timori relativi all'accumulo di PEG nei bambini piccoli. I dati completi acquisiti mediante gli studi, compresi quelli sull'uso a lungo termine, non hanno evidenziato alcun nesso con effetti indesiderati sul sistema nervoso dovuti all'accumulo di PEG.

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

La ditta che commercializza Refixia condurrà uno studio per esaminare i potenziali effetti dell'accumulo di PEG nel plesso corioideo cerebrale e in altri organi.

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

Altre informazioni su Refixia

Refixia ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 2 giugno 2017.

Ulteriori informazioni su Refixia sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/refixia

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 07-2023.