



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refixia (*nonakogas beta pegolas*)

Refixia apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Refixia ir kam jis vartojamas?

Refixia – tai vaistas, vartojamas kraujavimui gydyti ir jo profilaktikai pacientams, sergantiems hemofilija B – paveldimu kraujavimo sutrikimu, kurį sukelia IX faktoriaus – kraujo krešėjimo baltymo trūkumas.

Refixia sudėtyje yra veikliosios medžiagos nonakogo beta pegolo.

Kaip vartoti Refixia?

Refixia galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymas turėtų būti taikomas prižiūrint gydytojui, turinčiam hemofilijos gydymo patirties.

Refixia švirkščiama į veną. Vaisto dozė ir injekcijų dažnumas priklauso nuo to, ar Refixia vartojamas kraujavimui sustabdyti ar jo profilaktikai, ar kraujavimui sumažinti operacijos metu, taip pat nuo kraujavimo stiprumo ir vietos bei paciento kūno svorio.

Išmokyti tinkamai susišvirkšti (sušvirkšti) Refixia pacientai arba jų slaugytojai gali tai daryti patys namuose. Išsamią informaciją rasite pakuotės lapelyje.

Daugiau informacijos apie Refixia vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Refixia?

Hemofilija B sergančių pacientų organizme trūksta IX krešėjimo faktoriaus – baltymo, kuris būtinas, kad kraujas normaliai krešėtų, todėl jie greitai netenka kraujo. Žmogaus organizme veikioji Refixia medžiaga nonakogas beta pegolas veikia taip pat kaip žmogaus IX krešėjimo faktorius. Ji pakeičia trūkstamą IX krešėjimo faktorių ir taip padeda kraujui krešėti ir laikinai sustabdyti kraujavimą.



Kokia Refixia nauda nustatyta tyrimų metu?

Nustatyta, kad Refixia yra veiksmingas – padeda ir sustabdyti kraujavimą, ir užtikrinti, kad jis pasireikštų kuo rečiau.

Atliekant tyrimą, kuriame dalyvavo 74 suaugusieji ir vyresni nei 13 metų paaugliai, 29 pacientams, kuriems kas savaitę profilaktiškai buvo švirkščiama Refixia, pasireiškė maždaug 1 kraujavimo epizodas per metus, o 15 pacientų, kuriems Refixia buvo švirkščiama prireikus – pasireiškus kraujavimui, pasireiškė maždaug 16 kraujavimo epizodų per metus. Be to, nustatyta, kad Refixia puikiai arba gerai padėjo suvaldyti maždaug 92 proc. prasidėjusio kraujavimo epizodų. 87 proc. kraujavimo atvejų pakako vienos Refixia injekcijos.

Atliekant antrą tyrimą su 25 jaunesniais nei 13 metų vaikais, kurie anksčiau buvo gydomi kitais IX krešėjimo faktoriaus vaistais, visiems pacientams kas savaitę profilaktiškai buvo švirkščiamą Refixia. Po vieno gydymo metų pacientams pasireiškė maždaug 1 kraujavimo epizodas per metus. Maždaug 93 proc. kraujavimo atvejų Refixia buvo įvertintas puikiai arba gerai. Maždaug 86 proc. atvejų kraujavimui sustabdyti pakako vienos vaisto injekcijos. Tyrimas taip pat suteikė duomenų apie ilgalaikį Refixia vartojimą. Gydymą Refixia tęsiant iki 8 metų per metus vidutiniškai pasireiškė 0,9 kraujavimo epizodo. Maždaug 89 proc. kraujavimo atvejų Refixia buvo įvertintas puikiai arba gerai. Maždaug 82 proc. atvejų kraujavimui sustabdyti pakako vienos Refixia injekcijos.

Trečiame tyrime su 50 jaunesnių nei 7 metų vaikų, kurie anksčiau nebuvo gydomi kitais IX krešėjimo faktoriaus vaistais, Refixia buvo skiriama profilaktiškai kas savaitę. Gydymą Refixia tęsiant iki 6 metų per metus vidutiniškai pasireiškė 0,7 kraujavimo epizodo. Maždaug 96 proc. kraujavimo atvejų Refixia buvo įvertintas puikiai arba gerai. Maždaug 91 proc. atvejų kraujavimui sustabdyti pakako vienos Refixia injekcijos.

Abiejų tyrimų su vaikais rezultatai taip pat parodė, kad po maždaug 6 metų gydymo Refixia pacientų kraujyje IX krešėjimo faktoriaus koncentracija buvo tokia pati, kaip ir pacientų, sergančių lengva hemofilija.

Kokia rizika susijusi su Refixia vartojimu?

Išsamų visų Refixia šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Vartojant Refixia padidėjusio jautrumo (alerginės) reakcijos pasireiškia retai (gali pasireikšti rečiau kaip 1 pacientui iš 100). Tai gali būti patinimas, deginimo ir dilginimo pojūtis injekcijos vietoje, šaltkrėtis, paraudimas, bėrimas ir niežėjimas, galvos skausmas, dilgėlinė, sumažėjęs kraujospūdis, letargija, pykinimas ir vėmimas, neramumas, pagreitėjęs širdies plakimas, spaudimas krūtinėje ir švokštimas. Kartais šios reakcijos gali paūmėti iki sunkių.

Kai kurių IX krešėjimo faktoriaus vaistų vartojančių pacientų kraujyje gali susidaryti IX faktoriaus inhibitorių (antikūnų), dėl to vaistas gali nustoti veikti ir gali nebepavykti sustabdyti kraujavimo. Vartojant IX krešėjimo faktoriaus vaistus kraujagyslėse gali susidaryti krešulių.

Refixia negalima vartoti esant alergijai nonakogui beta pegolui arba kuriai nors vaisto sudedamajai daliai arba kai nustatyta alergija žiurkėnų baltymams.

Kodėl Refixia buvo registruotas ES?

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Refixia nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Tyrimai parodė, kad hemofilija B sergantiems pacientams Refixia padeda išvengti kraujavimo epizodų ir juos sustabdyti, o jo saugumas panašus į kitų IX krešėjimo faktoriaus vaistų. Vis dėlto, po ilgalaikio gydymo Refixia, dalis šio vaisto sudėtyje esančios veikliosios medžiagos (vadinamos PEG) gali susikaupti žmogaus organizme, įskaitant smegenų gyslainės rezginyje.

Ilgą laiką Refixia vartojančių jaunesnių nei 13 metų vaikų metinis kraujavimo rodiklis buvo mažas. Be to, nustatyta, kad jaunesnius nei 13 metų vaikus profilaktiškai skiriamas Refixia apsaugo nuo kraujavimo, nes jiems susidaro pastovi IX krešėjimo faktoriaus koncentracija. Refixia anksčiau nebuvo registruotas jaunesniems nei 12 metų vaikams, nes kilo susirūpinimas dėl PEG kaupimosi mažų vaikų organizme. Išsamūs tyrimų duomenys, įskaitant duomenis apie ilgalaikį vartojimą, neparodė jokio ryšio su šalutiniu poveikiu nervų sistemai dėl PEG kaupimosi.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Refixia vartojimą?

Refixia prekiaujanti bendrovė atliks tyrimą, kad ištirtų galimą PEG kaupimosi smegenų gyslainės rezginyje ir kituose organuose poveikį.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Refixia vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Refixia

Refixia buvo registruotas visoje ES 2017 m. birželio 2 d.

Daugiau informacijos apie Refixia rasite Agentūros interneto svetainėje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/refixia

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2023-07.