



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refixia (*nonakoga beta-pegols*)

Refixia pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Refixia* un kāpēc tās lieto?

Refixia ir zāles, ko lieto, lai ārstētu un novērstu asiņošanu pacientiem ar B hemofiliju – iedzimtu asins recēšanas traucējumu, ko izraisa IX faktora, t. i., proteīna, kas nepieciešams, lai producētu asins recēkļus un apturētu asiņošanu, deficīts.

Refixia satur aktīvo vielu nonakoga beta-pegolu.

Kā lieto *Refixia*?

Refixia var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana jāveic tāda ārsta uzraudzībā, kuram ir pieredze hemofilijas ārstēšanā.

Refixia tiek ievadītas injekcijas veidā vēnā. Zāļu deva un lietošanas biežums ir atkarīgi no tā, vai lieto *Refixia* asiņošanas ārstēšanai, profilaksei vai asiņošanas mazināšanai operācijas laikā, no asiņošanas apjoma un vietas, kā arī no pacienta ķermeņa masas.

Ja pacienti vai viņu aprūpētāji ir attiecīgi apmācīti, viņi var paši veikt *Refixia* injekcijas mājās apstākļos. Sīkāku informāciju skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Papildu informāciju par *Refixia* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Refixia* darbojas?

Pacientiem ar B hemofiliju ir IX faktora – normālam asins recēšanas procesam nepieciešamā proteīna – deficīts, tāpēc viņiem viegli sākas asiņošanas. *Refixia* aktīvā viela nonakoga beta-pegols organismā darbojas tāpat kā cilvēka IX faktors. Tas aizstāj trūkstozo IX faktoru, tādējādi palīdzot asinīm sarecēt un nodrošinot īslaicīgu asiņošanas kontroli.

Kādi *Refixia* ieguvumi atklāti pētījumos?

Ir pierādīta *Refixia* efektivitāte gan asiņošanas epizožu ārstēšanā, gan zemu epizožu skaita uzturēšanā.

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



Pētījumā, kurā piedalījās 74 pieaugušie un pusaudži no 13 gadu vecuma, 29 pacientiem, kuri saņēma *Refixia* kā iknedēļas profilaktisko terapiju, bija apmēram viena asiņošanas epizode gadā un 15 pacientiem, kuri saņēma *Refixia* asiņošanas ārstēšanai "pēc pieprasījuma", bija apmēram 16 asiņošanas epizožu gadā. Turklāt, asiņošanas gadījumos *Refixia* tika vērtētas kā izcilas vai labas, ārstējot aptuveni 92 % asiņošanas epizožu. Ar vienu *Refixia* injekciju tika novērsti 87 % asiņošanas epizožu.

Otrajā pētījumā ar 25 bērniem līdz 13 gadu vecumam, kuri iepriekš bija ārstēti ar citām IX faktora zālēm, visiem pacientiem lietoja *Refixia* kā iknedēļas profilaktisko terapiju. Pēc viena terapijas gada pacientiem bija aptuveni viena asiņošanas epizode gadā. *Refixia* tika vērtētas kā izcilas vai labas apmēram 93 % asiņošanas epizožu ārstēšanai. Ar vienu injekciju novērsa aptuveni 86 % asiņošanas epizožu. Ar pētījumu tika nodrošināti arī dati par *Refixia* lietošanu ilgtermiņā. Ārstējot ar *Refixia* periodā līdz astoņiem gadiem, vidējais gada asiņošanas biežums bija 0,9 asiņošanas epizodes gadā. *Refixia* iedarbību vērtēja kā izcilu vai labu, ārstējot aptuveni 89 % asiņošanas epizožu. Ar vienu *Refixia* injekciju tika novērsti 82 % asiņošanas epizožu.

Trešajā pētījumā, iesaistot 50 bērnus vecumā līdz septiņiem gadiem, kuri iepriekš nebija ārstēti ar citām IX faktora zālēm, *Refixia* tika lietotas reizi nedēļā profilaktiskai ārstēšanai. Ārstēšanas ar *Refixia* periodā līdz sešiem gadiem vidējais gada asiņošanas biežums bija 0,7 asiņošanas epizodes gadā. *Refixia* tika novērtētas kā izcilas vai labas, ārstējot aptuveni 96 % asiņošanas epizožu. Ar vienu *Refixia* injekciju novērsa apmēram 91 % asiņošanas epizožu.

Abu pētījumu ar bērniem rezultāti arī liecināja, ka pēc aptuveni sešus gadus ilgas terapijas ar *Refixia* pacientiem panāca stabilu IX faktora līmeni, kas bija līdzīgs paredzamajam diapazonam pacientiem ar vieglu hemofiliju.

Kāds risks pastāv, lietojot *Refixia*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Refixia*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Paaugstinātas jutības (alerģiskas) reakcijas, lietojot *Refixia*, nav bieži sastopamas (var rasties līdz 1 no 100 pacientiem) un var ietvert pietūkumu, dedzināšanu un durstišanas sajūtu injekcijas vietā, drebuļus, pietvīkumu, niezošus izsitumus, galvassāpes, nātreni, pazeminātu asinsspiedienu, letarģiju, sliktu dūšu un vemšanu, nemieru, paātrinātu sirdsdarbību, spiedošu sajūtu krūtīs un aizdusu. Dažos gadījumos šīs reakcijas var kļūt smagas.

Pēc ārstēšanas ar IX faktora zālēm dažiem pacientiem var tikt izstrādāti "inhibitori" (antivielas) pret IX faktoru, pārtraucot zāļu iedarbību, kā rezultātā zūd asiņošanas kontrole. IX faktora zāles var arī potenciāli radīt problēmas sakarā ar asins recekļu veidošanos asinsvados.

Refixia nedrīkst lietot pacientiem ar alerģiju pret nonakoga beta-pegolu vai kādu no šo zāļu sastāvdaļām, kā arī pacientiem ar zināmu alerģiju pret kāmjū olbaltumvielām.

Kāpēc *Refixia* ir reģistrētas?

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Refixia*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Pētījumos pierādīja, ka *Refixia* efektīvi novērš un ārstē asiņošanas epizodes pacientiem ar B hemofiliju un to drošums ir salīdzināms ar citu IX faktora zāļu drošumu. Tomēr pēc ilgtermiņa terapijas daļa zāļu *Refixia* aktīvās vielas (ko sauc par PEG) var uzkrāties smadzeņu struktūrā, ko sauc par asinsvadu pinumu.

Refixia ilgtermiņa lietošana bērniem līdz 13 gadu vecumam nodrošināja zemu asiņošanas līmeni gadā. Turklāt tika uzskatīts, ka *Refixia* nodrošina aizsardzību pret asiņošanas epizodēm, radot stabilu IX faktora līmeni bērniem līdz 13 gadu vecumam, kuri saņēmuši zāles asiņošanas profilaksei. *Refixia* iepriekš nebija reģistrētas lietošanai bērniem līdz 12 gadu vecumam, jo bija bažas par PEG akumulāciju maziem bērniem. Visaptveroši dati no pētījumiem, tostarp dati par ilgtermiņa lietošanu, neuzrādīja nekādu saikni ar PEG akumulācijas izraisītām blakusparādībām uz nervu sistēmu.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Refixia* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Refixia*, veiks pētījumu, lai noteiktu potenciālo ietekmi PEG akumulācijai smadzeņu asinsvadu pinumā un citos orgānos.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Refixia* lietošanu.

Cita informācija par *Refixia*

2017. gada 2. jūnijā *Refixia* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Refixia* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2023. gada jūlijā.