



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267639/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*hydrocortison*)

Een overzicht van Efmody en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Efmody en wanneer wordt het voorgeschreven?

Efmody is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van een erfelijke aandoening genaamd congenitale bijnierhyperplasie (congenital adrenal hyperplasia, CAH) bij patiënten van twaalf jaar en ouder.

CAH is zeldzaam, en Efmody werd op 27 juli 2005 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Efmody bevat de werkzame stof hydrocortison en is een 'hybride geneesmiddel'. Dit betekent dat het gelijk is aan een 'referentiegeneesmiddel' dat dezelfde werkzame stof bevat, maar Efmody wordt anders toegepast en is in verschillende sterkten beschikbaar in capsules die de werkzame stof gedurende een langere periode afgeven. Het referentiegeneesmiddel voor Efmody is Hydrocortone in tabletvorm.

Hoe wordt Efmody gebruikt?

Efmody is beschikbaar in de vorm van capsules met gereguleerde afgifte en is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling moet worden gestart door een arts die ervaring heeft in de behandeling van CAH.

De aanbevolen dosis Efmody voor volwassenen en adolescenten die uitgegroeid zijn, is 15 tot 25 mg per dag. Bij adolescenten die nog in de groei zijn, hangt de dosis af van hun gewicht en lengte. De dagelijkse dosis kan zo nodig worden aangepast aan de hand van de individuele respons. Twee derde tot driekwart van de dagelijkse dosis wordt in de avond voor het slapengaan ingenomen, ten minste twee uur na de laatste maaltijd. De rest wordt in de ochtend ingenomen, ten minste één uur voor een maaltijd.

Patiënten moeten mogelijk een aanvullend geneesmiddel met hydrocortison gebruiken tijdens periodes van geestelijke of lichamelijke stress, waaronder stress als gevolg van operaties en infecties.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Efmody.



Hoe werkt Efmody?

Personen met CAH maken niet genoeg van het natuurlijke corticosteroidhormoon cortisol aan (en soms ook niet genoeg aldosteron, een ander hormoon). Cortisol wordt normaal gesproken aangemaakt in de bijnieren (kleine klieren net boven de nieren) en helpt bij de regulatie van andere hormonen, de reactie van het lichaam op stress en de balans tussen zouten en water in het lichaam. Mensen met CAH hebben ook een verhoogd gehalte aan mannelijke geslachtshormonen, wat groeistoornissen en vruchtbaarheidsproblemen tot gevolg kan hebben.

Efmody bevat hydrocortison, een synthetische vorm van cortisol, en geeft deze stof langzaam af in de darmen ter vervanging van het natuurlijke hormoon in het lichaam, op een manier die lijkt op de natuurlijke afgifte van cortisol. Dit draagt bij tot een normale hormoonbalans en tot het verminderen van verschijnselen van de aandoening.

Welke voordelen bleek Efmody tijdens de studies te hebben?

De voordelen van Efmody zijn aangetoond in een hoofdstudie waaraan 122 patiënten met CAH deelnamen. Efmody werd vergeleken met een standaardbehandeling met andere corticosteroiden. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was een score op basis van concentraties 17-OHP, een hormonale stof die duidt op een verhoogd gehalte aan mannelijke geslachtshormonen bij ongecontroleerde CAH. Een afname van deze score in de loop van de studie wees erop dat de aandoening beter onder controle was. Gedurende de 24 weken van de studie daalde deze score met 0,403 bij patiënten die met Efmody werden behandeld, tegenover 0,172 bij patiënten die een standaardbehandeling kregen. Hoewel dit verschil niet voldoende was om duidelijk aan te tonen dat Efmody beter werkte dan de standaardbehandeling, duiden metingen ook op een betere regulering van de 17-OHP-concentraties die in de ochtend werden gemeten.

Ondersteunende gegevens uit een lopend vervolgonderzoek wezen erop dat CAH met Efmody voor een langere periode onder controle kan worden gehouden.

Welke risico's houdt het gebruik van Efmody in?

De meest voorkomende bijwerking van Efmody (die bij meer dan 1 op de 10 personen kan optreden) is vermoeidheid. Andere vaak voorkomende bijwerkingen van Efmody (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn hoofdpijn, toegenomen eetlust, duizeligheid en gewichtstoename. De meest voorkomende ernstige bijwerking is acute bijnierschorsinsufficiëntie (waarbij een corticosteroid niet voldoende hydrocortison levert om te kunnen voorzien in een hogere behoefte aan cortisol in geval van stress of infectie, wat zich kan uiten in braken of een sterk gevoel van onwelzijn).

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor het gebruik van Efmody.

Waarom is Efmody geregistreerd in de EU?

Met Efmody kon CAH voldoende onder controle worden gehouden en de algehele resultaten duiden op een verbeterde hormoonbalans. De resultaten op langere termijn wezen erop dat deze regulering kan worden gehandhaafd, waarbij in sommige gevallen lagere doses corticosteroiden kunnen worden gebruikt dan voorheen, waardoor het risico op bijwerkingen bij langdurige behandeling wordt verminderd. Hydrocortison met gereguleerde afgifte werd geacht van klinische waarde te zijn omdat met deze toedieningswijze een dosering kan worden geboden die vergelijkbaar is met de dagelijkse afgifte van natuurlijke cortisol. De gemelde bijwerkingen van Efmody komen overeen met de te verwachten bijwerkingen voor via de mond ingenomen hydrocortison. Het Europees

Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Efmody groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Efmody te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Efmody, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Efmody continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Efmody worden nauwkeurig geëvalueerd en zo nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Efmody

Meer informatie over Efmody is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.