



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701116/2017
EMA/H/C/006211

Ekterly (*sebetralstat*)

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

Wat is Ekterly en wanneer wordt het voorgeschreven?

Ekterly is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van symptomen van aanvallen van hereditair angio-oedeem (zwellings) bij personen van 12 jaar en ouder. Mensen met hereditair angio-oedeem hebben aanvallen van snelle zwelling die overal in het lichaam kunnen optreden, zoals het gezicht, de keel, de armen, de benen of rond de darmen. Deze aanvallen kunnen levensbedreigend zijn.

Hereditair angio-oedeem is zeldzaam, en Ekterly werd op 21 juni 2022 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Ekterly bevat de werkzame stof sebetralstat.

Hoe wordt Ekterly gebruikt?

Ekterly is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden voorgeschreven door een arts die ervaring heeft met de behandeling van mensen met hereditair angio-oedeem.

Het geneesmiddel is verkrijgbaar in de vorm van tabletten, die via de mond moeten worden ingenomen. Bij de eerste tekenen van een aanval moet één tablet worden ingenomen. Als de symptomen niet verbeteren, erger worden of terugkomen, kan ten minste drie uur na de eerste tablet een tweede tablet worden ingenomen. Per 24 uur mogen niet meer dan twee tabletten worden ingenomen.

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

Hoe werkt Ekterly?

De werkzame stof in Ekterly, sebetralstat, blokkeert de activiteit van het eiwit kallikrein. Bij mensen met erfelijk angio-oedeem is kallikrein overactief en leidt het tot verhoogde concentraties bradykinine, een ander eiwit. Bradykinine zorgt ervoor dat bloedvaten wijder worden en gaan lekken, waardoor vocht zich kan ophopen in het omringende weefsel, wat angio-oedeem aanvallen veroorzaakt. Door

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



kallikrein te blokkeren, vermindert Ekterly de hoeveelheid bradykinine die wordt geproduceerd tijdens een aanval, waardoor deze niet kan verergeren.

Welke voordelen bleek Ekterly tijdens de studies te hebben?

Uit een hoofdstudie bleek dat Ekterly tijdens aanvallen van hereditair angio-oedeem tot een snellere verbetering van de symptomen kan leiden in vergelijking met placebo (een schijnbehandeling).

Bij de hoofdstudie waren 110 mensen van 12 jaar en ouder met hereditair angio-oedeem betrokken. De deelnemers kregen de instructie om bij de eerste tekenen van een aanval één tablet Ekterly of placebo in te nemen. Ze konden na ten minste drie uur een tweede tablet innemen als de symptomen niet voldoende waren verbeterd of waren verergerd dan wel teruggekomen. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de tijd die verstreek voordat de symptomen begonnen te verbeteren na de behandeling, zoals bepaald aan de hand van de PGIC-schaal (patient global impression of change – schaal voor globale inschatting door de patiënt van verandering). De PGIC-schaal is een vragenlijst waarin patiënten wordt gevraagd te beoordelen in hoeverre hun symptomen na behandeling zijn verbeterd of verergerd.

Gemiddeld begonnen de symptomen 1,6 uur na behandeling te verbeteren bij mensen die Ekterly kregen, tegenover 6,7 uur bij degenen die placebo kregen.

Welke risico's houdt het gebruik van Ekterly in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Ekterly.

De meest voorkomende bijwerkingen van Ekterly (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn hoofdpijn.

Waarom is Ekterly geregistreerd in de EU?

Uit een hoofdstudie bleek dat Ekterly werkzaam is dan placebo bij het verlichten van symptomen van aanvallen van hereditair angio-oedeem.

Ten tijde van de goedkeuring was Ekterly het eerste geneesmiddel voor aanvallen van hereditair angio-oedeem dat via de mond kan worden ingenomen. Dit biedt patiënten een comfortabeler alternatief dan geneesmiddelen die via injectie worden toegediend. Bovendien kan een tablet eerder worden ingenomen nadat een patiënt symptomen van een aanval begint te ontwikkelen, waardoor de ernst en de duur van de aanval kunnen afnemen.

De veiligheid van Ekterly werd beoordeeld bij een klein aantal patiënten. De episodes van hoofdpijn met Ekterly waren licht tot matig van intensiteit en verdwenen vanzelf. Over het geheel genomen waren de bijwerkingen licht tot matig van aard en werden ze aanvaardbaar geacht. Er zijn echter enkele onzekerheden over de mogelijkheid dat Ekterly QT-verlenging veroorzaakt (abnormale elektrische activiteit van het hart die het hartritme beïnvloedt). Daarom is in de productinformatie voor het geneesmiddel een waarschuwing opgenomen om dit potentiële risico te benadrukken bij mensen met een reeds bestaande QT-verlenging of met bekende risicofactoren.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Ekterly 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 Ekterly te waarborgen?

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

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Ekterly continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Ekterly worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Ekterly

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