



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refixia (*nonacog beta pegol*)

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

Wat is Refixia en wanneer wordt het voorgeschreven?

Refixia is een geneesmiddel dat wordt gebruikt om bloedingen te behandelen en te voorkomen bij patiënten met hemofilie B, een bloedingsstoornis die wordt veroorzaakt door een tekort aan factor IX – een eiwit dat nodig is om bloedstolsels te maken die bloedingen stoppen

Refixia bevat de werkzame stof nonacog beta pegol.

Hoe wordt Refixia gebruikt?

Refixia is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van hemofilie.

Refixia wordt toegediend als injectie in een ader. De dosis en de frequentie van de behandeling zijn afhankelijk van het feit of Refixia wordt gebruikt om bloedingen te behandelen of te voorkomen of om bloedingen tijdens een operatie te verminderen, en zijn ook afhankelijk van de ernst en de plaats van de bloeding en het lichaamsgewicht van de patiënt.

Patiënten of hun verzorgers kunnen Refixia zelf thuis injecteren zodra ze hierin voldoende zijn geoefend. Zie de bijsluiter voor meer informatie.

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

Hoe werkt Refixia?

Patiënten met hemofilie B hebben geen factor IX, een eiwit dat nodig is voor normale bloedstolling, en als gevolg hiervan bloeden ze snel. De werkzame stof in Refixia, nonacog beta pegol, werkt in het lichaam op dezelfde manier als humane factor IX. Het vervangt de ontbrekende factor IX zodat de stolling van het bloed wordt bevorderd en de bloedingen tijdelijk onder controle worden gebracht.

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Welke voordelen bleek Refixia tijdens de studies te hebben?

Het is gebleken dat Refixia zowel voor het behandelen van bloedingsepisoden als voor het laag houden van het aantal bloedingsepisoden werkzaam is.

In een studie onder 74 volwassenen en adolescenten van 13 jaar of ouder hadden 29 patiënten die Refixia als wekelijkse preventieve behandeling kregen ongeveer één bloedingsepisode per jaar, en hadden 15 patiënten die Refixia kregen voor het 'naar behoefte' behandelen van bloedingen ongeveer 16 bloedingsepisoden per jaar. Daarnaast werd, wanneer toch bloedingen optraden, Refixia als uitstekend of goed beoordeeld bij het behandelen van ongeveer 92 % van de bloedingsepisoden. In totaal kon 87 % van de bloedingen met één enkele injectie gestopt worden.

In de tweede studie onder 25 kinderen jonger dan 13 jaar die eerder waren behandeld met andere factor IX-producten, kregen alle patiënten Refixia als wekelijkse preventieve behandeling. Na één jaar behandeling hadden de patiënten ongeveer één bloedingsepisode per jaar. Refixia werd als uitstekend of goed beoordeeld bij de behandeling van ongeveer 93 % van de bloedingsepisoden. Ongeveer 86 % van de bloedingsepisoden stopte na één injectie. De studie leverde ook gegevens op over het langdurige gebruik van Refixia. Gedurende maximaal 8 jaar behandeling met Refixia bedroeg de gemiddelde jaarlijkse bloedingsgraad 0,9 bloedingen per jaar. Refixia werd als uitstekend of goed beoordeeld bij de behandeling van ongeveer 89 % van de bloedingsepisoden. Ongeveer 82 % van de bloedingsepisoden verdween met één injectie van Refixia.

In een derde studie onder 50 kinderen jonger dan 7 jaar die niet eerder waren behandeld met andere factor IX-producten, werd Refixia toegediend als wekelijkse preventieve behandeling. Gedurende maximaal 6 jaar behandeling met Refixia bedroeg de gemiddelde jaarlijkse bloedingsgraad 0,7 bloedingen per jaar. Refixia werd als uitstekend of goed beoordeeld bij de behandeling van ongeveer 96 % van de bloedingsepisoden. Ongeveer 91 % van de bloedingsepisoden verdween met één injectie van Refixia.

Uit de resultaten van beide studies bij kinderen bleek ook dat patiënten na ongeveer 6 jaar behandeling met Refixia stabiele factor IX-spiegels bereikten die binnen het verwachte bereik lagen voor patiënten met lichte hemofilie.

Welke risico's houdt het gebruik van Refixia in?

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

Bij Refixia treden soms (bij maximaal 1 op de 100 patiënten) overgevoeligheidsreacties (allergische reacties) op, die kunnen bestaan uit: zwelling, een branderig en stekend gevoel op de injectieplaats, koude rillingen, overmatig blozen, jeukende huiduitslag, hoofdpijn, netelroos, lage bloeddruk, sloomheid, misselijkheid en braken, rusteloosheid, een snelle hartslag, beklemmend gevoel op de borst en piepende ademhaling. In sommige gevallen kunnen deze reacties ernstig worden.

Sommige patiënten die factor IX-geneesmiddelen gebruiken, ontwikkelen remmers (antilichamen) tegen factor IX, waardoor het geneesmiddel niet meer werkt en er sprake is van verlies van controle over bloedingen. Factor IX-geneesmiddelen zouden ook problemen kunnen veroorzaken doordat zich bloedstolsels vormen in de bloedvaten.

Refixia mag niet worden gebruikt bij patiënten die allergisch zijn voor nonacog beta pegol of een van de bestanddelen van het geneesmiddel, noch bij patiënten met een bekende allergie voor hamstereiwitten.

Waarom is Refixia goedgekeurd?

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

Studies tonen aan dat Refixia werkzaam is voor de preventie en behandeling van bloedingsepisoden bij patiënten met hemofilie B, en de veiligheid ervan is vergelijkbaar met die van andere factor IX-producten. Na langdurige behandeling kan zich echter een deel van de werkzame stof van Refixia (PEG genaamd) ophopen in het lichaam, ook in een structuur in de hersenen die plexus choroideus wordt genoemd.

Langdurig gebruik van Refixia bij kinderen jonger dan 13 jaar leidde tot een laag jaarlijks bloedingspercentage. Daarnaast werd Refixia geacht een beschermende werking tegen bloedingsepisoden te hebben door stabiele factor IX-concentraties te genereren bij kinderen jonger dan 13 jaar die het geneesmiddel kregen toegediend om bloedingen te voorkomen. Refixia was eerder niet goedgekeurd voor kinderen jonger dan 12 jaar vanwege zorgen over de accumulatie van PEG bij jonge kinderen. Uitgebreide gegevens uit studies, waaronder gegevens over langdurig gebruik, hebben geen enkel verband aangetoond met bijwerkingen op het zenuwstelsel als gevolg van de accumulatie van PEG.

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

Het bedrijf dat Refixia in de handel brengt, zal een studie uitvoeren om de mogelijke effecten van PEG-ophoping in de plexus choroideus van de hersenen en in andere organen te onderzoeken.

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

Overige informatie over Refixia

Op 2 juni 2017 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Refixia verleend.

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

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 07-2023.