



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/496146/2024
EMA/H/C/005938

Alhemo (*koncizumab*)

Przegląd wiedzy na temat leku Alhemo i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Alhemo i w jakim celu się go stosuje

Alhemo jest lekiem stosowanym w celu zapobiegania epizodom krwawienia (jako profilaktyka) u osób w wieku od 12 lat z hemofilią A lub B. U osób z hemofilią A lub B występuje ryzyko krwawienia z powodu niedoboru białek, które pomagają w krzepnięciu krwi (czynnika VIII w przypadku hemofilii A i czynnika IX w przypadku hemofilii B).

Lek Alhemo stosuje się:

- u osób z hemofilią A lub B, których organizm zaczął produkować przeciwciała (białka wytwarzane przez naturalne mechanizmy obronne organizmu) zwane inhibitorami, które uniemożliwiają prawidłowe działanie leków zawierających czynnik VIII lub czynnik IX;
- u osób z ciężką hemofilią A albo umiarkowaną bądź ciężką hemofilią B, u których nie pojawiły się przeciwciała.

Substancją czynną zawartą w leku Alhemo jest koncizumab.

Jak stosować lek Alhemo

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno się rozpoczynać pod nadzorem lekarza mającego doświadczenie w leczeniu hemofilii lub zaburzeń krzepliwości krwi.

Lek Alhemo podaje się we wstrzyknięciu podskórnym w brzuch lub udo raz na dobę, przy użyciu wstrzykiwacza półautomatycznego. Po odpowiednim przeszkoleniu pacjenci bądź opiekunowie mogą samodzielnie wykonywać wstrzyknięcia leku. Lek Alhemo podaje się stale, aby zapobiegać epizodom krwawienia.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Alhemo znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



Jak działa lek Alhemo

Oprócz czynnika VIII i IX organizm wykorzystuje inne białka pomagające w krzepnięciu krwi, takie jak czynnik Xa. W normalnych warunkach białko zwane inhibitorem szlaku czynnika tkankowego (TFPI) zapobiega wyzwolaniu krzepnięcia przez czynnik Xa.

Substancja czynna leku Alhemo, koncizumab, jest przeciwciałem monoklonalnym (rodzajem białka). Przyłącza się do TFPI i zapobiega blokowaniu czynnika Xa. Pozwala to czynnikowi Xa wspomagać krzepnięcie krwi i zapobiegać krwawieniom u osób z hemofilią A lub B.

Korzyści ze stosowania leku Alhemo wykazane w badaniach

W dwóch badaniach głównych profilaktyczne stosowanie leku Alhemo okazało się skuteczne w zmniejszaniu liczby epizodów krwawienia u osób w wieku od 12 lat z hemofilią A lub B z inhibitorami i bez inhibitorów.

W pierwszym badaniu uczestniczyło 127 osób, u których pojawiły się inhibitory, z czego 33 osoby uwzględniono w analizie. U osób przyjmujących lek Alhemo szacowana średnia roczna liczba epizodów krwawienia wynosiła 1,7, w porównaniu z 11,8 u osób otrzymujących doraźnie leki zawierające czynnik krzepnięcia w momencie wystąpienia epizodu krwawienia.

U pacjentów otrzymujących lek Alhemo odnotowano również niewielką poprawę pod względem dolegliwości bólowych i sprawności fizycznej według standardowego systemu oceny (SF-36v2). Wyniki uległy poprawie odpowiednio o 9,2 i 4,5 punktu (w skali 100-punktowej), w porównaniu z 2,2 i 1,2 punktu u osób nieotrzymujących leczenia profilaktycznego.

W drugim badaniu głównym wzięło udział 148 osób z ciężką postacią hemofilii A albo umiarkowaną bądź ciężką postacią hemofilii B, u których nie wytworzyły się inhibitory leków zawierających czynnik krzepnięcia. Wśród 27 pacjentów z hemofilią A szacowana średnia roczna liczba epizodów krwawienia wynosiła 2,7 u osób przyjmujących lek Alhemo w porównaniu z 19,3 u osób otrzymujących tylko doraźnie leki zawierające czynnik krzepnięcia w momencie wystąpienia epizodu krwawienia. Wśród 36 pacjentów z hemofilią B wartości te wynosiły 3,1 dla leku Alhemo i 14,8 dla leczenia doraźnego. Ponadto u pacjentów otrzymujących wcześniej profilaktyczną terapię zastępczą z czynnikiem VIII lub IX liczba krwawień w ciągu roku nie zmieniła się istotnie po przejściu na lek Alhemo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Alhemo

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Alhemo znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Alhemo (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to reakcje w miejscu wstrzyknięcia, takie jak zaczerwienienie, zasiniaczenie i krwiak (nagromadzenie krwi pod skórą).

Niektóre działania niepożądane mogą być poważne. Najczęstsze z nich (mogące wystąpić u 1 na 100 pacjentów) to epizody zakrzepowo-zatorowe (problemy wskutek tworzenia się zakrzepów w naczyniach krwionośnych) i reakcje nadwrażliwości (alergiczne).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Alhemo w UE

Lek Alhemo jest skuteczny w zapobieganiu epizodom krwawienia u pacjentów w wieku od 12 lat z hemofilią A albo B, u których wytworzyły się inhibitory, a także u pacjentów z niedoborem inhibitorów z ciężką hemofilią A albo umiarkowaną bądź ciężką hemofilią B.

W momencie dopuszczenia do obrotu większość terapii dla pacjentów, u których nie wytworzyły się inhibitory, obejmowała częste wlewy (kroplówki) dożylnie w ramach terapii zastępczej z zastosowaniem czynników VIII lub IX. Lek Alhemo podaje się raz na dobę we wstrzyknięciu podskórnym, a pacjenci lub opiekunowie mogą samodzielnie wstrzykiwać lek w domu, co może być bardziej odpowiednie i wygodne. Ponieważ w przypadku pacjentów, u których wytworzyły się inhibitory, opcje leczenia były ograniczone, lek Alhemo stanowi dodatkową możliwość terapii.

W kontekście bezpieczeństwa stosowania lek Alhemo jest na ogół dobrze tolerowany. Głównym problemem w zakresie bezpieczeństwa jest ryzyko epizodów zakrzepowo-zatorowych, które uważa się jednak za możliwe do opanowania.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Alhemo przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Alhemo

Firma, która wprowadza lek Alhemo do obrotu, udostępni pracownikom medycznym materiały edukacyjne z informacjami o bezpieczeństwie stosowania leku, w tym o potencjalnym ryzyku epizodów zakrzepowo-zatorowych i o konieczności monitorowania pacjentów pod kątem objawów podmiotowych i przedmiotowych. Pacjenci otrzymają również przewodnik i kartę, którą powinni zawsze mieć przy sobie.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Alhemo w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Alhemo są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Alhemo są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Alhemo

Lek Alhemo otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 13 grudnia 2024 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Alhemo znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/alhemo>.

Data ostatniej aktualizacji: 08.2025.