



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/190021/2024
EMA/H/C/005968

Altuvoc (efanezoktokog alfa)

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

Czym jest lek Altuvoc i w jakim celu się go stosuje

Altuvoc jest lekiem stosowanym w profilaktyce i leczeniu krwawienia u osób dorosłych i dzieci z hemofilią A, która jest dziedziczną skazą krwotoczną spowodowaną niedoborem czynnika VIII — białka, które pomaga krwi krzepnąć.

Ze względu na to, że hemofilia A jest chorobą rzadko występującą, w dniu 28 czerwca 2019 r. lek Altuvoc uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Altuvoc jest efanezoktokog alfa.

Jak stosować lek Altuvoc

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpocząć i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu hemofilii.

Lek Altuvoc ma postać proszku i płynu do sporządzania roztworu do podawania we wstrzyknięciu dożylnym trwającym 1–10 minut. Dawka zależy od masy ciała pacjenta i tego, czy lek stosuje się w profilaktyce czy leczeniu krwawienia.

W profilaktyce krwawienia lek Altuvoc podaje się raz w tygodniu. W leczeniu czynnego krwawienia (leczeniu doraźnym) pacjent otrzymuje najpierw jedno wstrzyknięcie leku Altuvoc, a w razie konieczności dodatkowe wstrzyknięcia powtarza się co 2–3 dni. Czas trwania leczenia doraźnego zależy od stopnia nasilenia choroby, umiejscowienia i nasilenia krwawienia oraz stanu zdrowia pacjenta.

Pacjenci lub ich opiekunowie mogą samodzielnie podawać lek Altuvoc w domu po odpowiednim przeszkoleniu.

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



Jak działa lek Altuvoc

U pacjentów z hemofilią A występuje niedobór czynnika VIII — białka organizmu, które pomaga krwi krzepnąć. Substancja czynna leku Altuvoc, efanesoktokog alfa, przypomina i zastępuje brakujący czynnik VIII, pomagając w ten sposób w krzepnięciu krwi i zapewniając tymczasową kontrolę nad zaburzeniem krwawienia. Efanesoktokog alfa opracowano w taki sposób, by jego aktywność w organizmie utrzymywała się dłużej niż aktywność naturalnego czynnika VIII.

Korzyści ze stosowania leku Altuvoc wykazane w badaniach

Wykazano skuteczność leku Altuvoc w profilaktyce i leczeniu krwawień u pacjentów z ciężką hemofilią A.

W badaniu głównym z udziałem 159 pacjentów w wieku od 12 lat z ciężką hemofilią A 133 pacjentów otrzymywało cotygodniowe wstrzyknięcia leku Altuvoc w ramach profilaktyki krwawień. Po 52 tygodniach leczenia u pacjentów występowało średnio około 0,70 epizodu krwawienia rocznie. W przypadku 77 pacjentów dostępne były dane o wcześniejszej terapii — w tej grupie średnia liczba epizodów krwawienia po zastosowaniu leku Altuvoc wynosiła 0,69 w porównaniu z około 3 epizodami po stosowaniu wcześniejszej terapii. W trakcie badania większość epizodów krwawienia była skutecznie leczona po podaniu jednorazowego wstrzyknięcia leku Altuvoc (leczenia doraźnego).

W badaniu z udziałem 74 dzieci w wieku poniżej 12 lat z hemofilią A stosowanie leku Altuvoc dało podobne wyniki do tych uzyskanych u starszych pacjentów. Lek Altuvoc uznano więc za skuteczny w leczeniu hemofilii A u młodszych dzieci.

Połączone dane z 3 badań z udziałem 41 pacjentów z hemofilią A poddanych rozległemu zabiegowi chirurgicznemu wykazały, że lek Altuvoc skutecznie zapobiega epizodom krwawienia podczas zabiegu i po jego przeprowadzeniu.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Altuvoc

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Altuvoc (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: ból głowy oraz ból stawów. Inne działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Altuvoc (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: wymioty, wyprysk (swędząca, zaczerwieniona i sucha skóra), wysypka, pokrzywka (wysypka swędząca), ból w kończynach (rękach i nogach), ból pleców i gorączka.

Tak jak w przypadku wszystkich leków zawierających czynnik VIII u pacjentów mogą się pojawić przeciwciała przeciwko efanesoktokogowi alfa, które sprawiają, że lek przestaje działać, i następuje utrata kontroli nad krwawieniem. Wówczas należy się skontaktować ze specjalistycznym ośrodkiem zajmującym się leczeniem hemofilii.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Altuvoc w UE

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

Wykazano, że lek Altuvoc zapobiega krwawieniu u osób dorosłych i dzieci z hemofilią A. W momencie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu większość znajdujących się w obrocie terapii profilaktycznych z czynnikiem VIII wymagała podawania wstrzyknięć co 2–4 dni. Lek Altuvoc podaje się raz w tygodniu, co jest bardziej komfortowe dla pacjentów i może pomóc w przestrzeganiu zaleceń

terapeutycznych. Stosowanie leku Altuvoc doraźnie jest skuteczne w kontekście epizodów krwawienia, których większość ustępuje po podaniu jednorazowego wstrzyknięcia. Lek Altuvoc jest także skuteczny w zapobieganiu krwawieniu u pacjentów poddanych zabiegowi chirurgicznemu. Działania niepożądane leku Altuvoc są zbliżone do tych obserwowanych w przypadku innych leków z czynnikiem VIII i są uznawane za możliwe do opanowania. Ze względu na sposób działania czynnika VIII występuje niewielkie ryzyko epizodów zakrzepowo-zatorowych (powstawania zakrzepów krwi w naczyniach krwionośnych) po podaniu leków zawierających czynnik VIII. Firma, która wprowadza lek Altuvoc do obrotu, przeprowadzi dodatkowe badania tego leku w kontekście takiego ryzyka.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Altuvoc

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

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

Inne informacje dotyczące leku Altuvoc

Dalsze informacje dotyczące leku Altuvoc znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/altuvoc.