



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/81025/2025
EMA/H/C/006423

Deqsig (immunoglobulina ludzka normalna)

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

Czym jest lek Deqsig i w jakim celu się go stosuje

Deqsig jest lekiem stosowanym w leczeniu osób:

- narażonych na zakażenie z powodu braku przeciwciała o nazwie immunoglobulina G (IgG), które jest białkiem we krwi wspomagającym organizm zwalczać zakażenia. Lek Deqsig stosuje się u osób, które urodziły się z brakiem IgG (zespół pierwotnych niedoborów odporności, ang. *primary immunodeficiency syndrome*, PID) oraz u osób, u których wystąpił brak IgG po urodzeniu (zespół wtórnych niedoborów odporności, ang. *secondary immunodeficiency syndrome*, SID) i u których występują ciężkie lub nawracające zakażenia i w przypadku których leki stosowane w leczeniu zakażeń nie działają;
- z niektórymi chorobami układu odpornościowego (wywoływanymi przez własny system obronny organizmu, który atakuje prawidłowe tkanki) i ma na celu zwiększenie aktywności układu odpornościowego (immunomodulacja). Lek Deqsig stosuje się u pacjentów z:
 - pierwotną małopłytkowością immunologiczną (ang. *primary immune thrombocytopenia*, ITP) – chorobą związaną z brakiem płytek krwi (składników krwi przyczyniających się do jej krzepnięcia), co naraża pacjentów na ryzyko krwawienia;
 - zespołem Guillain-Barré i przewlekłą zapalną poliradikuloneuropatią demielinizacyjną, chorobami zapalnymi nerwów powodującymi osłabienie mięśni i drętwienie;
 - chorobą Kawasaki, chorobą obserwowaną głównie u dzieci, która powoduje zapalenie naczyń krwionośnych;
 - wieloogniskową neuropatią ruchową (uszkodzenie nerwów powodujące osłabienie kończyn).

Substancją czynną zawartą w leku Deqsig jest immunoglobulina ludzka normalna.

Jak stosować lek Deqsig

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z zaburzeniami układu odpornościowego.



Lek Deqsigą podaje się we wlewie dożylnym (kroplówce). Pacjenci z niedoborem odporności otrzymują lek Deqsigą co 3–4 tygodnie. Częstotliwość podawania leku w przypadku immunomodulacji zależy od leczonej choroby.

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

Jak działa lek Deqsigą

Substancją czynną zawartą w leku Deqsigą jest immunoglobulina ludzka normalna. Składa się ona z przeciwciał, które zostały ekstrahowane i oczyszczone z osocza (płynnej części krwi) zdrowych osób. U pacjentów z pierwotnym lub wtórnym niedoborem odporności lek Deqsigą dostarcza brakującej IgG, co zmniejsza ryzyko zakażenia. Przy wyższych dawkach lek Deqsigą pomaga ograniczyć aktywność układu odpornościowego u osób z chorobami autoimmunologicznymi.

Korzyści ze stosowania leku Deqsigą wykazane w badaniach

Ponieważ immunoglobulina ludzka normalna była długo stosowana w leczeniu zespołu niedoboru odporności i zaburzeń odporności, do ustalenia skuteczności leku Deqsigą u pacjentów z niedoborem odporności lub zaburzeniami odporności wystarczyły cztery prowadzone na niewielką skalę badania.

PID

W dwóch badaniach głównych wykazano, że lek Deqsigą jest skuteczny w zapobieganiu zakażeniom u pacjentów z PID. Głównym kryterium oceny skuteczności była częstotliwość zakażeń u pacjentów. Aby zidentyfikować objawy zakażenia, pobierano krew pacjentom przed każdym wlewem leku Deqsigą i 3 tygodnie po ostatnim wlewie.

W pierwszym badaniu uczestniczyło 22 pacjentów, którzy otrzymali 3 wlewy zatwierdzonego leku zawierającego immunoglobulinę, a następnie 9 wlewów leku Deqsigą, podawanych w odstępie 3 tygodni. Podczas leczenia z zastosowaniem leku Deqsigą wystąpiły nieciężkie zakażenia średnio 0,48 razy na pacjenta miesięcznie, przy czym nie wystąpiły żadne ciężkie zakażenia. Ponadto konieczne było podawanie antybiotyków średnio 0,18 razy na pacjenta miesięcznie.

W drugim badaniu uczestniczyło 61 pacjentów, którzy otrzymywali lek Deqsigą przez 12 miesięcy, co 3–4 tygodnie. Podczas leczenia nieciężkie zakażenia występowały średnio 0,07 razy na pacjenta rocznie, przy czym nie wystąpiły żadne ciężkie zakażenia.

Immunomodulacja

W dwóch badaniach głównych wykazano, że lek Deqsigą skutecznie zmniejsza aktywność układu odpornościowego u pacjentów z zaburzeniami odporności.

W pierwszym badaniu uczestniczyło 28 pacjentów z ITP, którzy otrzymywali lek Deqsigą przez krótki okres od 2 do 5 dni. W ciągu 15 dni od rozpoczęcia leczenia u 74% pacjentów osiągnięto prawidłowe stężenie płytek krwi, co zmniejszyło ryzyko krwawienia.

W drugim badaniu wzięło udział 44 pacjentów z wieloogniskową neuropatią ruchową. Wszyscy pacjenci przyjmowali najpierw lek Deqsigą przez 36 tygodni. Następnie podawano im lek Deqsigą przez 12 tygodni przed zmianą leczenia na placebo (leczenie pozorowane) przez 12 tygodni lub na odwrót. Na koniec każdego okresu leczenia oceniano siłę mięśni, rejestrując siłę uścisku ręki pacjenta i korzystając z kwestionariusza, w którym oceniano stopień jego niepełnosprawności. Średnia różnica w sile uścisku ręki między dwoma okresami leczenia wynosiła 34%, co oznacza, że u pacjentów, którzy otrzymywali lek Deqsigą w porównaniu z placebo, siła uścisku była większa. Ponadto u 36% pacjentów stwierdzono większą niepełnosprawność w trakcie leczenia placebo, natomiast w przypadku leku Deqsigą

utrzymywała się ona na stabilnym poziomie; u 12% doszło do pogorszenia stanu przy stosowaniu leku Deqsig a i utrzymania się na stabilnym poziomie w przypadku placebo. Ponadto 69% pacjentów musiało przestawić się na lek Deqsig a w trakcie przyjmowania placebo, ponieważ ich objawy znacznie się pogorszyły.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Deqsig a

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Deqsig a (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: ból głowy, nadciśnienie tętnicze (wysokie ciśnienie krwi), nudności (mdłości), wysypka, zmęczenie, reakcje miejscowe, takie jak ból, obrzęk i swędzenie w miejscu wstrzyknięcia oraz gorączka. Jest większe prawdopodobieństwo wystąpienia niektórych działań niepożądanych w przypadku krótkotrwałego podawania wlewu, u pacjentów z obniżonym poziomem immunoglobulin, którzy nie otrzymywali leku Deqsig a przez dłuższy czas, lub którzy nigdy nie otrzymywali tego leku.

Leku Deqsig a nie wolno stosować u osób z selektywnym niedoborem IgA, u których pojawiły się przeciwciała przeciwko IgA, ponieważ może to prowadzić do anafilaksji (ciężkiej reakcji alergicznej).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Deqsig a w UE

Wykazano, że lek Deqsig a skutecznie zmniejsza ryzyko zakażenia u pacjentów z PID oraz łagodzi objawy ITP i wieloogniskowej neuropatii ruchowej. Na podstawie tych wyników należy się spodziewać, że lek Deqsig a łagodzi objawy zespołu Guillain-Barré, choroby Kawasaki i przewlekłej zapalnej poliradikuloneuropatii demielinizacyjnej. Dlatego też nie są konieczne szczegółowe badania dotyczące tych chorób.

Lek Deqsig a zawiera niskie stężenie IgA, co może zmniejszyć ryzyko wystąpienia reakcji alergicznych, zwłaszcza u pacjentów z brakiem IgA i zwiększonym ryzykiem wystąpienia reakcji alergicznych na leki zawierające immunoglobulinę o wyższym stężeniu IgA.

Leki zawierające normalną immunoglobulinę ludzką stosuje się w UE od lat 80. XX wieku. Działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Deqsig a są podobne do działań niepożądanych związanych ze stosowaniem innych leków z tej samej klasy. Mają one nasilenie od łagodnego do umiarkowanego i przejściowy charakter. W rzadkich przypadkach mogą wystąpić ciężkie działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Deqsig a, w tym ciężkie reakcje alergiczne (mogące wystąpić u 1 na 100 pacjentów).

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

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Deqsig a

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Deqsig a 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 Deqsig a są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Deqsig a są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Deqsig

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