EMA/CHMP/267640/2021
EMEA/H/C/005105

Efmody (*hydrokortyzon*)

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

Czym jest lek Emfody i w jakim celu się go stosuje

Efmody to lek stosowany w leczeniu choroby dziedzicznej zwanej wrodzonym przerostem nadnerczy u pacjentów powyżej 12. roku życia.

Ze względu na to, że wrodzony przerost nadnerczy uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 27 lipca 2005 r. lek Efmody uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Substancją czynną zawartą w leku Efmody jest hydrokortyzon. Efmody jest lekiem hybrydowym. Oznacza to, że jest on podobny do „leku referencyjnego" zawierającego tę samą substancję czynną, aczkolwiek lek Efmody ma inne zastosowanie i jest dostępny w różnych mocach w postaci kapsułek uwalniających substancję czynną przez dłuższy czas. Lekiem referencyjnym dla leku Efmody są tabletki zawierające hydrokortyzon.

Jak stosować lek Efmody

Lek Efmody jest dostępny w postaci kapsułek o zmodyfikowanym uwalnianiu. Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien prowadzić lekarz mający doświadczenie w leczeniu wrodzonego przerostu nadnerczy.

Zalecana dawka leku Efmody u osób dorosłych i młodzieży, u której wystąpiło już zahamowanie wzrostu, wynosi od 15 do 25 mg na dobę. U młodzieży, u której nie nastąpiło zahamowanie wzrostu, dawka jest uzależniona od masy ciała i wzrostu. Dawkę dobową można w razie konieczności dostosować w zależności od odpowiedzi danej osoby. Dwie trzecie do trzech czwartych dawki dobowej należy przyjmować wieczorem przed snem, co najmniej 2 godziny po ostatnim posiłku, a pozostałą część rano co najmniej 1 godzinę przed posiłkiem.

Pacjenci mogą wymagać dodatkowego leczenia hydrokortyzonem w okresie stresu psychicznego lub fizycznego, w tym podczas zabiegu chirurgicznego i zakażeń.

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

© European Medicines Agency, 2021. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Jak działa lek Efmody

Osoby z wrodzonym przerostem nadnerczy nie są w stanie wytwarzać wystarczającej ilości naturalnego hormonu kortyzolu o działaniu kortykosteroidowym (a niekiedy innego hormonu – aldosteronu). Kortyzol jest normalnie wytwarzany w nadnerczach (niewielkie gruczoły położone nad nerkami) i pomaga regulować inne hormony oraz odpowiedź organizmu na stres, jak również równowagę soli i wody w organizmie. U osób cierpiących na powyższą chorobę występuje zwiększenie ilości męskich hormonów płciowych, co może prowadzić do i problemów ze wzrostem i z płodnością.

Lek Efmody zawiera hydrokortyzon, syntetyczną postać kortyzolu, i powoli uwalnia go w jelitach w celu zastąpienia naturalnego hormonu w organizmie w podobny sposób do naturalnego codziennego wydzielania kortyzolu. Pomaga to przywrócić bardziej normalną równowagę hormonalną i zminimalizować inne aspekty choroby.

Korzyści ze stosowania leku Efmody wykazane w badaniach

Korzyści ze stosowania leku Efmody wykazano w badaniu głównym z udziałem 122 pacjentów z wrodzonym przerostem nadnerczy. Efmody porównywano ze standardowym leczeniem z zastosowaniem innych leków kortykosteroidowych. Głównym kryterium oceny skuteczności był wynik oparty na poziomie 17-OHP, substancji hormonalnej wskazującej na wzrost liczby męskich hormonów płciowych w niekontrolowanym wrodzonym przeroście nadnerczy. Spadek tego wyniku w trakcie badania wykazał lepszą kontrolę. Przez 24 tygodnie badania wynik ten spadł o 0,403 u pacjentów poddanych terapii lekiem Efmody, natomiast w przypadku pacjentów przyjmujących standardowe leczenie wynik ten wyniósł 0,172. Chociaż różnica ta nie była wystarczająca do wyraźnego wykazania, że lek Efmody działał skuteczniej niż standardowe leczenie, pomiary sugerują również lepszą kontrolę stężeń porannego 17-OHP.

Dane uzupełniające z trwającego przedłużenia badania wskazują, że kontrolę wrodzonego niedorozwoju nadnerczego można utrzymać przy użyciu leku Efmody przez dłuższy czas.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Efmody

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku Efmody (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to zmęczenie. Inne częste działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Efmody (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: ból głowy, zwiększony apetyt, zawroty głowy i wzrost masy ciała. Najczęstszym ciężkim działaniem jest ostra niewydolność nadnerczy (w przypadku, gdy kortykosteroid nie jest w stanie dostarczać wystarczającej ilości hydrokortyzonu na zwiększone zapotrzebowanie kortyzolu w okresie stresu lub zakażenia, co może objawiać się wymiotami lub złym samopoczuciem).

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Efmody znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Efmody w UE

Lek Efmody zapewniał odpowiednią kontrolę wrodzonego przerostu nadnerczy, a ogólne dane sugerowały poprawę równowagi hormonów. Dane długoterminowe sugerują, że tendencję tę można utrzymać, w niektórych przypadkach stosowano niższe dawki kortykosteroidu niż wcześniej, zmniejszając ryzyko wystąpienia działań niepożądanych w wyniku długotrwałego leczenia. Uznano, że hydrokortyzon o zmodyfikowanym uwalnianiu oferuje wartość kliniczną, umożliwiając podawanie leku przypominające rytm dobowy naturalnego wydzielania kortyzolu. Zgłoszone działania niepożądane leku Efmody są zgodne z działaniami oczekiwanymi dla hydrokortyzonu przyjmowanego doustnie.

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

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Efmody

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

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Efmody są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Efmody są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Efmody

Dalsze informacje na temat leku Efmody znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.