



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/454740/2024
EMA/H/C/004883

Esperoct (*pegylowany turoktokog alfa*)

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

Czym jest lek Esperoct i w jakim celu się go stosuje

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

Substancją czynną zawartą w leku Esperoct jest pegylowany turoktokog alfa.

Jak stosować lek Esperoct

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz z doświadczeniem w leczeniu hemofilii.

Esperoct podaje się w postaci wstrzyknięcia dożylnego. Dawka, częstość wstrzyknięć i długość leczenia zależą od tego, czy lek jest stosowany do leczenia czy profilaktyki krwawień, a także od nasilenia hemofilii, rozległości i lokalizacji krwawienia oraz stanu zdrowia i masy ciała pacjenta. Po przejściu odpowiedniego szkolenia pacjenci lub ich opiekunowie mogą być w stanie samodzielnie wstrzykiwać lek Esperoct w domu.

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

Jak działa lek Esperoct

U pacjentów z hemofilią A nie występuje czynnik VIII, białko potrzebne do prawidłowego krzepnięcia krwi, wskutek czego łatwo dochodzi u nich do krwawień. Substancja czynna leku Esperoct, pegylowany turoktokog alfa, działa w organizmie w taki sam sposób jak ludzki czynnik VIII. Zastępuje ona brakujący czynnik VIII, wspomagając w ten sposób proces krzepnięcia krwi i zapewniając tymczasową kontrolę zaburzeń krwawienia.

Część substancji czynnej jest pegylowana – dodaje się związek chemiczny o nazwie glikol polietylenowy (PEG), aby pomóc utrzymać lek w organizmie, a przez to przedłużyć jego działanie.



Korzyści ze stosowania leku Esperoct wykazane w badaniach

Wykazano skuteczność leku Esperoct w profilaktyce i leczeniu krwawień u pacjentów z ciężką postacią hemofilii.

W badaniu głównym z udziałem pacjentów w wieku od 12 do 66 lat u 175 pacjentów, którym podawano zapobiegawczo lek Esperoct co 4 dni lub 2 razy w tygodniu, wystąpiło średnio około 4 epizodów krwawienia rocznie, co stanowiło osiągnięcie celu badania, który wynosił mniej niż 8,5 epizodu rocznie. W przypadku wystąpienia epizodów krwawienia w 94% przypadków zostały one skutecznie wyleczone po podaniu jednego lub dwóch dodatkowych wstrzyknięć.

Kolejnych 12 pacjentów w tym badaniu nie otrzymało leczenia zapobiegawczego, lecz podano im lek Esperoct w ramach leczenia krwawienia „na żądanie”. U tych pacjentów wystąpiło średnio około 32 krwawień rocznie, a lek Esperoct skutecznie zatrzymał krwawienie w 97% przypadków po 1 lub 2 wstrzyknięciach.

W drugim badaniu z udziałem 68 dzieci w wieku poniżej 12 lat, którym wcześniej podawano inne leki zawierające czynnik VIII, lek Esperoct podawany w leczeniu zapobiegawczym prowadził do wystąpienia około 2 epizodów krwawienia rocznie w trakcie głównej części badania trwającego 26 tygodni. W długoterminowym przedłużeniu drugiego badania u dzieci wystąpiło średnio mniej niż 1 epizod krwawienia na rok; wszystkie krwawienia były skutecznie leczone dodatkowymi dawkami leku Esperoct.

W trzecim badaniu głównym z udziałem 81 dzieci w wieku poniżej 6 lat, które nie otrzymywały wcześniej leków zawierających czynnik VIII, u dzieci wystąpiło szacunkowo średnio 1,8 epizodu krwawienia na rok; 93% krwawień było skutecznie leczonych lekiem Esperoct.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Esperoct

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

Podczas stosowania leku Esperoct mogą wystąpić reakcje nadwrażliwości (alergiczne); występują one niezbyt często (mogą wystąpić u 1 na 100 osób), a w niektórych przypadkach mogą stać się ciężkie. Należą do nich: obrzęk, pieczenie i kłucie w miejscu wstrzyknięcia, dreszcze, uderzenia gorąca, swędząca pokrzywka, ból głowy, pokrzywka, niedociśnienie, senność, nudności i wymioty, niepokój ruchowy, częstoskurcz serca, uczucie ucisku w klatce piersiowej, mrowienie, wymioty, świszczący oddech.

Bardzo rzadko w organizmie pacjentów mogą pojawić się przeciwciała skierowane przeciwko białku chomika zawartemu w leku, powodując reakcje nadwrażliwości. Leku Esperoct nie wolno stosować u pacjentów z alergią na białka chomika.

Po leczeniu z zastosowaniem produktów zawierających czynnik VIII, w tym leku Esperoct, u niektórych pacjentów mogą pojawić się inhibitory (przeciwciała) przeciwko czynnikowi VIII sprawiające, że lek przestanie działać i nastąpi utrata kontroli krwawień. Wówczas należy się skontaktować ze specjalistycznym ośrodkiem zajmującym się leczeniem hemofilii.

W badaniach klinicznych u około jednej trzeciej wcześniej nieleczonych pacjentów rozpoczynających leczenie lekiem Esperoct, u których nie wytworzyły się inhibitory czynnika VIII, wytworzyły się przeciwciała skierowane przeciw części PEG substancji czynnej. Prowadziło to do zmniejszenia aktywności czynnika VIII, powodując u niektórych z tych pacjentów utratę kontroli nad krwawieniem. Poziom aktywności czynnika VIII powrócił do normy u wszystkich pacjentów, którzy nadal otrzymywali lek Esperoct.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Esperoct w UE

W badaniach wykazano, że lek Esperoct jest skuteczny w profilaktyce i leczeniu epizodów krwawienia u dorosłych i dzieci z hemofilią A. Ponieważ lek Esperoct jest pegylowany, pacjenci stosujący ten lek mogliby dokonywać mniejszej ilości, rzadszych wstrzykiwań niż w przypadku standardowych produktów zawierających FVIII.

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

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Esperoct

Firma, która wprowadza lek Esperoct do obrotu, przeprowadzi badanie w celu przeanalizowania potencjalnego wpływu akumulacji PEG w splocie naczyniówkowym mózgu i innych narządach.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Esperoct 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 na temat stosowania leku Esperoct są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Esperoct są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Esperoct

Lek Esperoct otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 20 czerwca 2019 r.

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

Data ostatniej aktualizacji: 10.2024.