



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/319898/2023
EMA/H/C/004178

Refixia (*pegylowany nonakog beta*)

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

Czym jest lek Refixia i w jakim celu się go stosuje

Refixia jest lekiem stosowanym w leczeniu i profilaktyce krwawień u pacjentów z hemofilią B, dziedzicznym zaburzeniem krzepnięcia krwi wynikającym z niedoboru czynnika IX, białka potrzebnego do wytwarzania skrzepów krwi w celu zatrzymania krwawienia.

Substancją czynną zawartą w leku Refixia jest pegylowany nonakog beta.

Jak stosować lek Refixia

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno przebiegać pod nadzorem lekarza doświadczonego w leczeniu hemofilii.

Lek Refixia podaje się we wstrzyknięciu dożylnym. Dawka i częstość wstrzykiwań zależą od tego, czy lek Refixia jest stosowany do leczenia lub profilaktyki krwawień, czy do zmniejszenia krwawienia podczas zabiegu chirurgicznego, od rozległości i lokalizacji krwawienia oraz masy ciała pacjenta.

Po przejściu odpowiedniego szkolenia pacjenci lub ich opiekunowie mogą być w stanie samodzielnie wstrzykiwać lek Refixia w domu. Szczegółowe informacje znajdują się w Ulotce dla pacjenta.

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

Jak działa lek Refixia

U pacjentów z hemofilią B występuje niedobór czynnika IX, białka potrzebnego do prawidłowego krzepnięcia krwi, wskutek czego łatwo dochodzi u nich do krwawień. Substancja czynna leku Refixia, pegylowany nonakog beta, działa w organizmie w taki sam sposób jak ludzki czynnik IX. Zastępuje ona brakujący czynnik IX, wspomagając w ten sposób proces krzepnięcia krwi i zapewniając tymczasową kontrolę krwawienia.

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



Korzyści ze stosowania leku Refixia wykazane w badaniach

Wykazano, że lek Refixia skutecznie leczy epizody krwawienia i utrzymuje liczbę epizodów na niskim poziomie.

W badaniu z udziałem 74 osób dorosłych i nastolatków w wieku od 13 lat u 29 pacjentów otrzymujących lek Refixia w ramach profilaktyki raz na tydzień wystąpił w przybliżeniu 1 epizod krwawienia na rok, a u 15 pacjentów otrzymujących lek Refixia doraźnie do leczenia krwawień wystąpiło około 16 epizodów krwawienia na rok. Ponadto w przypadku wystąpienia krwawienia lek Refixia oceniano jako doskonały lub dobry w leczeniu około 92% epizodów krwawienia. 87% epizodów krwawienia ustępowało po jednym wstrzyknięciu leku Refixia.

W drugim badaniu z udziałem 25 dzieci w wieku poniżej 13 lat wcześniej leczonych innymi produktami zawierającymi czynnik IX wszystkim pacjentom podawano lek Refixia w ramach cotygodniowego leczenia profilaktycznego. Po roku leczenia u pacjentów odnotowano około 1 epizod krwawienia rocznie. Lek Refixia oceniono jako doskonały lub dobry w leczeniu około 93% epizodów krwawienia. Około 86% epizodów krwawienia ustępowało po jednym wstrzyknięciu. W badaniu przedstawiono również dane dotyczące długotrwałego stosowania leku Refixia. Podczas stosowania leku Refixia przez okres do 8 lat średni roczny odsetek krwawień wyniósł 0,9 krwawienia na rok. Lek Refixia oceniono jako doskonały lub dobry w leczeniu około 89% epizodów krwawienia. Około 82% epizodów krwawienia ustępowało po jednym wstrzyknięciu leku Refixia.

W trzecim badaniu z udziałem 50 dzieci w wieku poniżej 7 lat, które wcześniej nie były leczone innymi produktami zawierającymi czynnik IX, lek Refixia podawano w ramach profilaktyki raz w tygodniu. Podczas stosowania leku Refixia przez okres do 6 lat średni roczny odsetek krwawień wyniósł 0,7 krwawienia na rok. Lek Refixia oceniono jako doskonały lub dobry w leczeniu około 96% epizodów krwawienia. Około 91% epizodów krwawienia ustępowało po jednym wstrzyknięciu leku Refixia.

Wyniki obu badań u dzieci wykazały również, że po około 6 latach stosowania leku Refixia pacjenci osiągnęli stabilne poziomy czynnika IX, które mieściły się w zakresie oczekiwanym dla pacjentów z łagodną hemofilią.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Refixia

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

Podczas stosowania leku Refixia niezbyt często obserwuje się reakcje nadwrażliwości (alergiczne) (mogące wystąpić u 1 na 100 pacjentów), które mogą obejmować: obrzęk, pieczenie i kłucie w miejscu wstrzyknięcia, dreszcze, uderzenia gorąca, swędzącą wysypkę, bóle głowy, pokrzywkę, niedociśnienie, senność, nudności i wymioty, niepokój, kołatanie serca, ucisk w klatce piersiowej i świszczący oddech. W niektórych przypadkach reakcje te mogą być ciężkie.

U niektórych pacjentów przyjmujących leki zawierające czynnik IX mogą się pojawić inhibitory czynnika IX (przeciwciała neutralizujące) sprawiające, że lek przestanie działać i nastąpi utrata kontroli krwawień. Leki zawierające czynnik IX mogą również potencjalnie powodować problemy będące wynikiem powstawania skrzepów krwi w naczyniach krwionośnych.

Leku Refixia nie wolno stosować u pacjentów z alergią na pegylowany nonakog beta lub którykolwiek ze składników leku ani u pacjentów, u których wiadomo że występuje alergia na białka chomika.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Refixia w UE

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

W badaniach wykazano, że lek Refixia jest skuteczny w profilaktyce i leczeniu epizodów krwawienia u pacjentów z hemofilią B, a bezpieczeństwo jego stosowania jest porównywalne z bezpieczeństwem stosowania innych produktów zawierających czynnik IX. W następstwie długotrwałego leczenia część substancji czynnej zawartej w leku Refixia (glikol polietylenowy, PEG) może jednak kumulować się w organizmie, w tym w strukturze mózgu zwanej spletem naczyńówkowym.

Długotrwałe stosowanie leku Refixia u dzieci poniżej 13 lat prowadziło do niskiego rocznego wskaźnika krwawień. Ponadto uznano, że stosowanie leku Refixia daje efekt ochronny przed epizodami krwawienia poprzez generowanie stabilnego poziomu czynnika IX u dzieci w wieku poniżej 13 lat, którym podano lek w celu zapobiegania krwawieniom. Lek Refixia nie był wcześniej dopuszczony dla dzieci w wieku poniżej 12 lat ze względu na obawy dotyczące akumulacji PEG u małych dzieci. Wyczerpujące dane z badań, w tym dane dotyczące długotrwałego stosowania, nie wykazały żadnego związku z działaniami niepożądanymi w obrębie układu nerwowego z powodu akumulacji PEG.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Refixia

Firma, która wprowadza lek Refixia do obrotu, przeprowadzi badanie w celu przeanalizowania potencjalnego wpływu akumulacji PEG w splecie naczyńówkowym mózgu i innych narządach.

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

Inne informacje dotyczące leku Refixia

Lek Refixia otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 2 czerwca 2017 r.

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

Data ostatniej aktualizacji: 07.2023.