



EMA/CHMP/267641/2021
EMEA/H/C/005105

Efmody (*hidrocortisona*)

Um resumo sobre Efmody e porque está autorizado na UE

O que é Efmody e para que é utilizado?

Efmody é um medicamento utilizado no tratamento de uma doença hereditária denominada hiperplasia suprarrenal congénita (HSC) em doentes com idade igual ou superior a 12 anos.

A HSC é uma doença rara, e Efmody foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 27 de julho de 2005. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Efmody contém a substância ativa hidrocortisona e é um medicamento híbrido. Isto significa que é similar a um medicamento de referência contendo a mesma substância ativa, mas Efmody tem uma utilização diferente e está disponível em dosagens diferentes como cápsulas formuladas para libertar a substância ativa por um período de tempo prolongado. O medicamento de referência para Efmody cápsulas é Hidrocortone cápsulas.

Como se utiliza Efmody?

Efmody está disponível na forma de cápsulas de liberação modificada e só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento da HSC.

A dose recomendada de Efmody em adultos e adolescentes que tenham parado de crescer é de 15 a 25 mg por dia. Nos adolescentes que não tenham completado o crescimento, a dose baseia-se no peso e na altura. A dose diária pode ser ajustada conforme necessário, com base na resposta individual. Dois terços a três quartos da dose diária são tomados à noite, ao deitar, pelo menos 2 horas após a última refeição, e a restante dose de manhã pelo menos 1 hora antes de uma refeição.

Os doentes poderão ter de tomar um medicamento adicional contendo hidrocortisona em períodos de stress mental ou físico, incluindo cirurgia e infecções.

Para mais informações sobre a utilização de Efmody, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Efmody?

As pessoas com HSC não são capazes de produzir a hormona corticosteroide natural cortisol em quantidade suficiente (e, por vezes, outra hormona, a aldosterona). O cortisol é normalmente

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



produzido nas glândulas suprarrenais (pequenas glândulas imediatamente acima dos rins) e ajuda a regular outras hormonas e a resposta do organismo ao stress, bem como o equilíbrio entre os sais e a água no organismo. Também sofrem um aumento das hormonas sexuais masculinas que pode resultar em problemas de crescimento e fertilidade.

Efmody contém hidrocortisona, uma forma sintética de cortisol, e liberta-a lentamente nos intestinos para substituir a hormona natural no organismo, num padrão semelhante à secreção natural diária de cortisol. Isto ajuda a restaurar um equilíbrio mais normal das hormonas e a minimizar outros aspectos da doença.

Quais os benefícios demonstrados por Efmody durante os estudos?

Os benefícios de Efmody foram demonstrados num estudo principal que incluiu 122 doentes com HSC. Efmody foi comparado com o tratamento padrão que incluiu outros medicamentos corticosteroides. O principal parâmetro de eficácia foi uma pontuação baseada em níveis de 17-OHP, uma substância hormonal que indica um aumento das hormonas sexuais masculinas na HSC não controlada. Uma diminuição desta pontuação ao longo do estudo revelou um melhor controlo. Ao longo das 24 semanas do estudo, esta pontuação diminuiu 0,403 nos doentes tratados com Efmody, em comparação com 0,172 nos doentes que receberam o tratamento padrão. Embora esta diferença não tenha sido suficiente para demonstrar claramente que Efmody funcionou melhor do que o tratamento padrão, as medições também sugeriram um melhor controlo dos níveis matinais de 17-OHP.

Os dados de suporte de um estudo de continuação em curso indicaram que o controlo da HSC poderia ser mantido com Efmody a longo prazo.

Quais são os riscos associados a Efmody?

O efeito secundário mais frequente associado a Efmody (que pode afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) é cansaço. Outros efeitos secundários frequentes associados a Efmody (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) são dores de cabeça, aumento do apetite, tonturas e aumento de peso. O efeito grave mais frequente é insuficiência suprarrenal aguda (quando um corticosteroide não consegue fornecer hidrocortisona suficiente para responder a necessidades crescentes de cortisol durante situações de stress ou infecção, o que pode ser demonstrado por vômitos ou sensação de mal-estar).

Para a lista completa de restrições de utilização e de efeitos secundários comunicados relativamente a Efmody, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Efmody autorizado na UE?

Efmody proporcionou um controlo adequado da HSC e os dados globais sugeriram uma melhoria do equilíbrio hormonal. Os dados a longo prazo sugeriram que tal podia ser mantido, em alguns casos utilizando doses mais baixas de corticosteroides do que antes, reduzindo assim o risco de efeitos secundários decorrentes do tratamento de longa duração. Considerou-se que a hidrocortisona de libertação modificada oferece valor clínico ao permitir uma dosagem que se assemelha ao ritmo diário de secreção natural do cortisol. Os efeitos secundários comunicados com Efmody estão em consonância com os esperados para a hidrocortisona tomada por via oral. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Efmody são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Efmody?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Efmody.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Efmody são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Efmody são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Efmody

Mais informações sobre Efmody podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.