



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refixia (*nonacog beta pegol*)

Prezentare generală a Refixia și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Refixia și pentru ce se utilizează?

Refixia este un medicament utilizat în tratarea și prevenirea hemoragiei la pacienți cu hemofilie B, o afecțiune hemoragică ereditară cauzată de lipsa factorului IX, o proteină necesară la coagularea sângelui pentru a opri sângerarea.

Refixia conține substanța activă nonacog beta pegol.

Cum se utilizează Refixia?

Refixia se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie efectuat sub supravegherea unui medic cu experiență în tratamentul hemofiliei.

Refixia se administrează în injecție intravenoasă (în venă). Doza și frecvența tratamentului depind de scopul utilizării medicamentului – pentru tratarea sau prevenirea sângerărilor ori pentru reducerea sângerării în timpul operațiilor chirurgicale –, de amploarea și localizarea sângerării și de greutatea pacientului.

Pacienții sau îngrijitorii lor pot administra ei înșiși injecția cu Refixia la domiciliu, după o instruire corespunzătoare. Pentru informații complete, citiți prospectul.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Refixia, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Refixia?

Pacienților cu hemofilie B le lipsește factorul IX, o proteină necesară la coagularea normală a sângelui, motiv pentru care sângerează cu ușurință. Substanța activă din Refixia, nonacog beta pegol, acționează în organism în același mod ca factorul IX uman. Suplinește lipsa factorului IX, ajutând astfel la coagularea sângelui și permițând ținerea temporară sub control a sângerării.

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Ce beneficii a prezentat Refixia pe parcursul studiilor?

S-a demonstrat că Refixia este eficientă atât la tratarea episoadelor de sângerare, cât și la menținerea lor în număr mic.

Într-un studiu care a cuprins 74 de adulți și adolescenți cu vârsta de 13 ani sau peste, 29 de pacienți cărora li s-a administrat Refixia ca tratament preventiv săptămânal au avut în jur de 1 episod de sângerare pe an, iar 15 pacienți cărora li s-a administrat Refixia „la nevoie” pentru tratarea sângerărilor au avut în jur de 16 episoade de sângerare pe an. În plus, când s-au produs sângerări, Refixia a fost apreciată ca tratament excelent sau bun în aproximativ 92 % din episoadele de sângerare. 87 % din episoadele de sângerare s-au remis după o singură injecție cu Refixia.

În al doilea studiu, efectuat la 25 de copii cu vârsta sub 13 ani tratați anterior cu alte medicamente care conțin factor IX, tuturor pacienților li s-a administrat Refixia ca tratament preventiv săptămânal. După un an de tratament, pacienții au avut în jur de 1 episod de sângerare pe an. Refixia a fost considerată excelentă sau bună în tratarea a aproximativ 93 % din episoadele de sângerare. Aproximativ 86 % din episoadele de sângerare s-au remis după o singură injecție. Studiul a furnizat și date privind utilizarea pe termen lung a Refixia. Pe parcursul a până la 8 ani de tratament cu Refixia, rata medie anuală de sângerare a fost de 0,9 sângerări pe an. Refixia a fost considerată excelentă sau bună în tratarea a aproximativ 89 % din episoadele de sângerare. Aproximativ 82 % din episoadele de sângerare s-au remis după o singură injecție cu Refixia.

Într-un al treilea studiu, efectuat la 50 de copii cu vârsta sub 7 ani netratați anterior cu alte produse care conțin factor IX, Refixia a fost administrată ca tratament preventiv săptămânal. Pe parcursul a până la 6 ani de tratament cu Refixia, rata medie anuală de sângerare a fost de 0,7 sângerări pe an. Refixia a fost considerată excelentă sau bună în tratarea a aproximativ 96 % din episoadele de sângerare. Aproximativ 91 % din episoadele de sângerare s-au remis după o singură injecție cu Refixia.

Rezultatele din ambele studii pe copii au arătat, de asemenea, că după aproximativ 6 ani de tratament cu Refixia, pacienții au atins niveluri stabile ale factorului IX, care se încadrează în intervalul preconizat pentru pacienții cu hemofilie ușoară.

Care sunt riscurile asociate cu Refixia?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Refixia, citiți prospectul.

În asociere cu Refixia s-au observat reacții de hipersensibilitate (alergice) mai puțin frecvente (care pot afecta până la 1 pacient din 100), care pot include: umflare, senzație de arsură și de înțepături la locul de injecție, frisoane, înroșirea feței, erupții însoțite de mâncărime, dureri de cap, urticarie, tensiune arterială mică, letargie, greață și vărsături, neliniște, bătăi rapide ale inimii, senzație de apăsare în piept și respirație șuierătoare. În unele cazuri, aceste reacții pot deveni severe.

Unii pacienți care iau medicamente cu factor IX pot să producă inhibitori (anticorpi) împotriva factorului IX, care determină oprirea efectului medicamentului și au drept rezultat pierderea controlului asupra sângerării. De asemenea, medicamentele care conțin factor IX pot cauza probleme din cauza formării de cheaguri de sânge în vasele sanguine.

Refixia este contraindicată la pacienții alergici la nonacog beta pegol sau la oricare dintre ingredientele medicamentului și la cei cu alergii cunoscute la proteinele de hamster.

De ce a fost autorizat Refixia?

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Refixia sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

Studiile au arătat că Refixia este eficace în prevenirea și tratarea episoadelor de sângerare la pacienții cu hemofilie B, iar profilul său de siguranță este comparabil cu cel al altor medicamente care conțin factorul IX. O parte a substanței active din Refixia (numită PEG) se poate însă acumula în corp, inclusiv într-o structură din creier numită plex coroid, ca urmare a tratamentului de lungă durată.

Utilizarea pe termen lung a Refixia la copii cu vârsta sub 13 ani a avut ca rezultat o rată anuală mică de sângerări. În plus, s-a considerat că Refixia asigură un efect protector împotriva episoadelor de sângerare, generând niveluri stabile ale factorului IX la copiii cu vârsta sub 13 ani cărora li s-a administrat medicamentul pentru prevenirea sângerării. Refixia nu a fost autorizat anterior pentru copii cu vârsta sub 12 ani din cauza preocupărilor legate de acumularea PEG la copiii mici. Datele cuprinzătoare din studii, inclusiv datele privind utilizarea pe termen lung, nu au arătat nicio legătură cu efectele secundare asupra sistemului nervos cauzate de acumularea de PEG.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Refixia?

Compania care comercializează Refixia va efectua un studiu pentru a analiza efectele potențiale ale acumulării de PEG în plexul coroid din creier și în alte organe.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Refixia, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Alte informații despre Refixia

Refixia a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 2 iunie 2017.

Mai multe informații despre Refixia se pot găsi pe site-ul agenției:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/refixia

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 07-2023.