



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267643/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*hydrokortizón*)

Prehľad o lieku Efmody a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Efmody a na čo sa používa?

Efmody je liek na liečbu dedičného ochorenia, ktoré sa nazýva kongenitálna adrenálna hyperplázia (CAH) u pacientov od veku 12 rokov.

Kongenitálna adrenálna hyperplázia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Efmody 27. júla 2005 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Liek Efmody obsahuje liečivo hydrokortizón a je to tzv. hybridný liek. To znamená, že je podobný tzv. referenčnému lieku s obsahom rovnakého liečiva, ale liek Efmody má iné použitie a je dostupný v iných silách vo forme kapsúl, ktoré boli navrhnuté tak, aby sa z nich liečivo uvoľňovalo počas dlhšieho obdobia. Referenčným liekom pre kapsuly Efmody sú tablety Hydrocortone.

Ako sa liek Efmody používa?

Liek Efmody je dostupný vo forme kapsúl s riadeným uvoľňovaním a jeho výdaj je viazaný na lekársky predpis. Liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou kongenitálnej adrenálnej hyperplázie.

Odporúčaná dávka lieku Efmody pre dospelých a dospievajúcich s dokončeným rastom je 15 až 25 mg denne. U dospievajúcich s neukončeným rastom dávka závisí od ich výšky a telesnej hmotnosti. Denná dávka sa má podľa potreby upraviť na základe individuálnej odpovede pacienta. Dve tretiny až tri štvrtiny dennej dávky sa užívajú večer pred spaním aspoň dve hodiny po poslednom jedle a zvyšok ráno aspoň jednu hodinu pred jedlom.

U pacientov, ktorí prechádzajú obdobiami nadmernej duševnej alebo fyzickej záťaže vrátane operácie či infekčnej choroby, sa má zvážiť podávanie dodatočných hydrokortizónových liekov.

Viac informácií o používaní lieku Efmody si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Efmody účinkuje?

Ľudia s kongenitálnou adrenálnou hyperpláziou nedokážu produkovať dostatočné množstvo kortizolu, čo je prirodzený kortikosteoroidný hormón, (a niekedy ani iného hormónu, aldosterónu). Kortizol sa normálne tvorí v nadobličkách (malých žľazách nad obličkami) a pomáha regulovať iné telesné

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



hormóny, odpoveď tela na stres a rovnováhu solí a vody v tele. Pri nedostatku kortizolu stúpa hladina mužských pohlavných hormónov, čo môže viesť k rastu a problémami s plodnosťou.

Liek Efmody obsahuje hydrokortizol, čo je syntetická forma kortizolu, a pomaly sa uvoľňuje v tráviacom trakte, aby nahradil chýbajúci prirodzený hormón, pričom spôsob jeho uvoľňovania sa podobá vylučovaniu kortizolu v prirodzenom dennom cykle. To pomôže normalizovať hormonálnu rovnováhu a minimalizovať prejavy ochorenia.

Aké prínosy lieku Efmody boli preukázané v štúdiách?

Prínosy lieku Efmody sa preukázali v jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 122 pacientov s kongenitálnou adrenálnou hyperpláziou. Liek Efmody sa porovnával so štandardnou liečbou na báze iných kortikosteroidových liekov. Hlavným meradlom účinnosti bolo skóre založené na hladine 17-OHP, čo je hormonálna látka, ktorá je ukazovateľom zvýšenej hladiny mužských pohlavných hormónov pri nekontrolovanom priebehu kongenitálnej adrenálnej hyperplázie. Pokles hladiny tejto látky počas štúdie bol ukazovateľom lepšej kontroly ochorenia. Počas 24 týždňov liečby toto skóre kleslo o 0,403 u pacientov liečených liekom Efmody v porovnaní s poklesom o 0,172 u pacientov liečených štandardnými liekmi. Hoci tento rozdiel nebol dostatočne veľký, aby preukázal lepšiu účinnosť lieku Efmody v porovnaní so štandardnými liekmi, meraniami sa zistila lepšia kontrola rannej hladiny látky 17-OHP.

Údaje z prebiehajúcej štúdie skúmajúcej pokračovanie v liečbe podporili tvrdenie, že s pomocou lieku Efmody by sa mohla dosiahnuť dlhodobejšia kontrola adrenálnej hyperplázie.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Efmody?

Najčastejší vedľajší účinok lieku Efmody (ktorý môže postihnúť viac ako 1 osobu z 10) je únava. Ďalšie časté vedľajšie účinky lieku Efmody (ktoré môžu postihnúť 1 osobu z 10) sú bolesť hlavy, zvýšená chuť do jedla, závraty a nárast hmotnosti. Najčastejší závažný vedľajší účinok je akútna adrenálna insuficiencia (ak množstvo hydrokortizónu dodané kortikosteroidovým liekom nie je dostatočné na pokrytie zvýšenej potreby kortizolu počas záťaže alebo infekčnej choroby, čo sa môže prejaviť tak, že pacient sa cíti veľmi zle a zvracia).

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Efmody a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Efmody povolený v EÚ?

Liek Efmody poskytol primeranú kontrolu kongenitálnej adrenálnej hyperplázie a zo všeobecných údajov vyplynulo, že sa zlepšila hormonálna rovnováha. Dlhodobými údajmi sa potvrdilo, že tieto účinky by sa mohli udržať, pričom v niektorých prípadoch by sa mohlo znížiť dávkovanie, aby sa predišlo riziku vedľajších účinkov spojených s dlhodobou liečbou. Riadené uvoľňovanie hydrokortizónu sa považuje za klinicky prínosné, pretože umožňuje dávkovanie podobné dennému rytmu prirodzeného vylučovania kortizolu. Hlásené vedľajšie účinky lieku Efmody sú zhodné s očakávanými vedľajšími účinkami hydrokortizónu užívaného ústami. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Efmody sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Efmody?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Efmody boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Efmody sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Efmody sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Efmody

Ďalšie informácie o lieku Efmody sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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