



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refixia (*nonakog beta pegol*)

Prehľad o lieku Refixia a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Refixia a na čo sa používa?

Liek Refixia sa používa na liečbu a prevenciu krvácania u pacientov s hemofíliou B, dedičnou poruchou zrážanlivosti krvi zapríčinenou nedostatkom faktora IX, proteínu potrebného na tvorbu krvných zrazenín na zastavenie krvácania.

Liek Refixia obsahuje liečivo nonakog beta pegol.

Ako sa liek Refixia používa?

Výdaj lieku Refixia je viazaný na lekársky predpis a na liečbu má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou hemofílie.

Liek Refixia sa podáva vo forme injekcie do žily. Dávka a frekvencia liečby závisia od toho, či sa liek Refixia používa na liečbu alebo prevenciu krvácania, alebo na zníženie krvácania počas chirurgického zákroku, od rozsahu a miesta krvácania a od telesnej hmotnosti pacienta.

Pacienti si po náležitom zaškolení môžu podávať liek Refixia sami v domácom prostredí, resp. im ho po takomto zaškolení môžu podávať ich opatrovatelia. Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

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

Akým spôsobom liek Refixia účinkuje?

Pacienti s hemofíliou B nemajú faktor IX, proteín potrebný na normálne zrážanie krvi, a preto u nich ľahko dochádza ku krvácaniu. Liečivo lieku Refixia, nonakog beta pegol, pôsobí v tele rovnakým spôsobom ako ľudský faktor IX. Nahrádza chýbajúci faktor IX, a tak pomáha zrážať krv a dostať krvácanie dočasne pod kontrolu.

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.

Aké prínosy lieku Refixia boli preukázané v štúdiách?

Preukázalo sa, že liek Refixia je účinný pri liečbe epizód krvácania aj pri udržiavaní počtu epizód na nízkej úrovni.

V štúdii zahŕňajúcej 74 dospelých a dospievajúcich vo veku od 13 rokov sa u 29 pacientov, ktorým sa podával liek Refixia ako týždenná preventívna liečba, vyskytla asi jedna epizóda krvácania ročne a u 15 pacientov, ktorým sa podával liek Refixia na liečbu krvácania tzv. na požiadanie, sa vyskytlo asi 16 epizód krvácania ročne. Okrem toho, keď sa vyskytlo krvácanie, liek Refixia sa hodnotil ako výborný alebo dobrý pri liečbe asi 92 % epizód krvácania. 87 % epizód krvácania sa vyriešilo jednou injekciou lieku Refixia.

V druhej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 25 detí vo veku do 13 rokov, ktoré boli predtým liečené inými liekmi obsahujúcimi faktor IX, sa všetkým pacientom podával liek Refixia ako týždenná preventívna liečba. Po roku liečby sa u pacientov vyskytla približne 1 epizóda krvácania ročne. Liek Refixia sa hodnotil ako výborný alebo dobrý pri liečbe približne 93 % epizód krvácania. Asi 86 % epizód krvácania sa vyriešilo jednou injekciou. V štúdii boli tiež predložené údaje o dlhodobom používaní lieku Refixia. Počas najviac ôsmich rokov liečby liekom Refixia bola priemerná ročná miera krvácania 0,9 krvácania ročne. Liek Refixia sa hodnotil ako výborný alebo dobrý pri liečbe približne 89 % epizód krvácania. Asi 82 % epizód krvácania sa vyriešilo jednou injekciou lieku Refixia.

V tretej štúdii zahŕňajúcej 50 detí vo veku do 7 rokov, ktoré predtým neboli liečené inými liekmi obsahujúcimi faktor IX, sa liek Refixia podával ako týždenná preventívna liečba. Počas najviac šiestich rokov liečby liekom Refixia bola priemerná ročná miera krvácania 0,7 krvácania ročne. Liek Refixia sa hodnotil ako výborný alebo dobrý pri liečbe približne 96 % epizód krvácania. Asi 91 % epizód krvácania sa vyriešilo jednou injekciou lieku Refixia.

Z výsledkov obidvoch štúdií u detí tiež vyplynulo, že približne po 6 rokoch liečby liekom Refixia dosiahli pacienti stabilné hladiny faktora IX, ktoré sa pohybovali v rozsahu očakávanom u pacientov s miernou hemofíliou.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Refixia?

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

Pri použití lieku Refixia sa menej často vyskytujú reakcie z precitlivenosti (alergické reakcie) (môžu postihnúť až 1 pacienta zo 100), ktoré môžu zahŕňať: opuch, pálenie a pichanie v mieste podania injekcie, zimnicu, návaly horúčavy, svrbiacu vyrážku, bolesť hlavy, žihľavku, nízky krvný tlak, letargiu, nevoľnosť a vracanie, nepokoj, rýchly srdcový tep, zvieranie na hrudníku a sipot. Tieto reakcie môžu byť v niektorých prípadoch závažné.

U niektorých pacientov používajúcich lieky obsahujúce faktor IX sa môžu vytvoriť inhibítory (protilátky) proti faktoru IX, čo spôsobí, že liek prestane účinkovať a vedie to k strate kontroly nad krvácaním. Lieky obsahujúce faktor IX môžu spôsobiť aj problémy zapríčinené vytváraním krvných zrazenín v krvných cievach.

Liek Refixia sa nesmie používať u pacientov, ktorí sú alergickí na nonakog beta pegol alebo na niektorú zložku lieku, ani u pacientov so známou alergiou na proteíny škrečkov.

Prečo bol liek Refixia povolený?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Refixia sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním, a odporučila udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

V štúdiách sa preukázalo, že liek Refixia je účinný pri prevencii a liečbe epizód krvácania u pacientov s hemofíliou B a že bezpečnosť lieku je porovnateľná s bezpečnosťou v prípade iných liekov obsahujúcich faktor IX. Časť liečiva lieku Refixia (nazývaná PEG) sa však môže po dlhodobej liečbe hromadiť v tele, a to aj v štruktúre mozgu, ktorá sa nazýva choroid plexus.

Dlhodobé užívanie lieku Refixia u detí mladších ako 13 rokov malo za následok nízku ročnú mieru krvácania. Okrem toho sa usúdilo, že liek Refixia poskytuje ochranný účinok proti epizodám krvácania, a to tak, že vytvára stabilné hladiny faktora IX u detí mladších ako 13 rokov, ktorým sa podával liek na prevenciu krvácania. Liek Refixia nebol predtým povolený pre deti mladšie ako 12 rokov z dôvodu obáv z hromadenia PEG u malých detí. Komplexné údaje zo štúdií vrátane údajov o dlhodobom používaní nepreukázali žiadnu súvislosť s vedľajšími účinkami na nervovú sústavu v dôsledku akumulácie PEG.

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

Spoločnosť, ktorá liek Refixia uvádza na trh, uskutoční štúdiu na preskúmanie potenciálneho vplyvu hromadenia PEG v štruktúre choroid plexus v mozgu a ďalších orgánoch.

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

Ďalšie informácie o lieku Refixia

Lieku Refixia bolo 2. júna 2017 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

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

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

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 7-2023