



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267617/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*hidrokortizon*)

Pregled zdravila Efmody in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Efmody in za kaj se uporablja?

Efmody je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje dedne bolezni, imenovane kongenitalna adrenalna hiperplazija (KAH), pri bolnikih, starih 12 let ali več.

Kongenitalna adrenalna hiperplazija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Efmody 27. julija 2005 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Zdravilo Efmody vsebuje učinkovino hidrokortizon in je „hibridno zdravilo“. To pomeni, da je podobno „referenčnemu zdravilu“, ki vsebuje enako učinkovino, vendar se zdravilo Efmody uporablja za drug namen in je na voljo v drugih jakostih kot kapsule za dolgotrajno sproščanje učinkovine. Referenčno zdravilo za kapsule zdravila Efmody so tablete zdravila Hydrocortone.

Kako se zdravilo Efmody uporablja?

Zdravilo Efmody je na voljo v obliki kapsul s prirejenim sproščanjem, njegovo predpisovanje in izdaja pa je le na recept. Zdravljenje lahko uvede le zdravnik z izkušnjami pri zdravljenju kongenitalne adrenalne hiperplazije.

Priporočeni odmerek zdravila Efmody pri odraslih in mladostnikih, ki so prenehali rasti, je od 15 do 25 mg na dan. Pri mladostnikih, ki še niso prenehali rasti, je odmerek odvisen od njihove telesne mase in višine. Dnevni odmerek se lahko glede na individualni odziv po potrebi prilagodi. Dve tretjini do tri četrtine dnevnega odmerka se vzamejo zvečer pred spanjem, vsaj dve uri po zadnjem obroku, preostanek pa zjutraj vsaj eno uro pred obrokom.

V obdobjih duševnega ali telesnega stresa, vključno z operacijo in okužbami, bodo bolniki morda potrebovali dodatno hidrokortizonsko zdravilo.

Za več informacij glede uporabe zdravila Efmody glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.



Kako zdravilo Efmody deluje?

Bolniki s kongenitalno adrenalno hiperplazijo ne morejo proizvesti dovolj naravnega kortikosteroidnega hormona kortizola (in včasih še drugega hormona, aldosterona). Kortizol se običajno tvori v nadledvičnih žlezah (majhnih žlezah tik nad ledvicama) in pomaga uravnati druge hormone in odziv telesa na stres ter ravnovesje soli in vode v telesu. Poleg tega proizvajajo več moških spolnih hormonov, kar lahko povzroči težave z rastjo in plodnostjo.

Zdravilo Efmody vsebuje hidrokortizon, ki je umetna oblika kortizola, in ga počasi sprošča v črevesju, kjer nadomešča naravni hormon v telesu v podobnem vzorcu kot pri naravnem dnevnem izločanju kortizola. To pomaga obnoviti normalno hormonsko ravnovesje in ublažiti druge vidike bolezni.

Kakšne koristi zdravila Efmody so se pokazale v študijah?

Koristi zdravila Efmody so dokazali v eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 122 bolnikov s kongenitalno adrenalno hiperplazijo. Zdravilo Efmody so primerjali s standardnim zdravljenjem, ki je vključevalo druga kortikosteroidna zdravila. Glavno merilo učinkovitosti je bila ocena na podlagi ravni 17-OHP, tj. hormonske snovi, ki pomeni povečano sproščanje moških spolnih hormonov pri nenadzorovani kongenitalni adrenalni hiperplaziji. Padec te ocene med študijo je pomenil boljši nadzor. V 24-tedenskem obdobju študije je ta ocena pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Efmody, padla za 0,403 v primerjavi z 0,172 pri tistih, ki so prejeli standardno zdravljenje. Čeprav ta razlika ni jasno pokazala večje učinkovitosti zdravila Efmody od standardnega zdravljenja, so meritve pokazale tudi boljši nadzor jutranjih ravni 17-OHP.

Podporni podatki iz potekajoče nadaljevalne študije so pokazali, da je z zdravilom Efmody mogoče kongenitalno adrenalno hiperplazijo dolgotrajno nadzorovati.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Efmody?

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Efmody (ki se lahko pojavi pri več kot 1 osebi od 10) je utrujenost. Drugi pogosti neželeni učinki zdravila Efmody (ki se lahko pojavijo pri največ 1 osebi od 10) so glavobol, povečan tek, omotica in povečanje telesne mase. Najpogostejši resni neželeni učinek je akutna adrenalna insuficienca (kadar kortikosteroidno zdravilo ne more zagotavljati dovolj hidrokortizona, da bi se lahko odzvalo na povečano potrebo po kortizolu pri stresu ali okužbi, kar se lahko kaže z bruhanjem ali zelo slabim počutjem).

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Efmody glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Efmody odobreno v EU?

Zdravilo Efmody je zagotovilo zadosten nadzor kongenitalne adrenalne hiperplazije, celokupni podatki pa so pokazali izboljšano hormonsko ravnovesje. Dolgotrajni podatki so pokazali, da bi bilo to v nekaterih primerih mogoče ohranjati z nižjimi odmerki kortikosteroidov kot prej, s čimer bi zmanjšali tveganje za neželene učinke dolgotrajnega zdravljenja. Ocenili so, da ima hidrokortizon s prirejenim sproščanjem večjo klinično vrednost, saj omogoča odmerjanje, ki je podobno dnevnemu ritmu naravnega izločanja kortizola. Neželeni učinki zdravila Efmody so v skladu z neželenimi učinki hidrokortizona, ki se jemlje peroralno. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Efmody večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Efmody?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Efmody upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Efmody stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Efmody, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Efmody

Nadaljnje informacije za zdravilo Efmody so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.