

EMA/454740/2024
EMA/H/C/004883

Esperoct (*turoktokog alfa pegol*)

Pregled zdravila Esperoct in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Esperoct in za kaj se uporablja?

Esperoct je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje in preprečevanje krvavitev pri otrocih, mladostnikih in odraslih s hemofilijo A, tj. prirojeno motnjo strjevanja krvi zaradi pomanjkanja faktorja VIII, tj. beljakovine, ki sodeluje pri strjevanju krvi.

Zdravilo Esperoct vsebuje učinkovino turoktokog alfa pegol.

Kako se zdravilo Esperoct uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Esperoct je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem hemofilije.

Zdravilo Esperoct se daje z injiciranjem v veno. Odmerek, pogostnost in trajanje zdravljenja so odvisni od starosti bolnika, od tega, ali se uporablja za zdravljenje oziroma preprečevanje krvavitev, kot tudi od resnosti hemofilije, obsega in mesta krvavitve ter bolnikovega stanja in telesne mase. Bolniki ali njihovi negovalci lahko po ustreznem usposabljanju zdravilo Esperoct injicirajo sami doma.

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

Kako zdravilo Esperoct deluje?

Bolnikom s hemofilijo A primanjkuje faktorja VIII, tj. beljakovine, potrebne za normalno strjevanje krvi, zato hitro zakrvavijo. Učinkovina v zdravilu Esperoct, turoktokog alfa pegol, deluje v telesu enako kot humani faktor VIII. Nadomešča manjkajoči faktor VIII ter tako pripomore k strjevanju krvi in omogoči začasen nadzor nad motnjo strjevanja krvi.

Del učinkovine je „pegiliran“, kar pomeni, da je zdravilu dodana kemična snov, imenovana polietilen glikol (PEG), ki pripomore k temu, da zdravilo dlje časa ostane v telesu in s tem podaljša njegovo delovanje.

Kakšne koristi zdravila Esperoct so se pokazale v študijah?

Študije so pokazale, da je zdravilo Esperoct učinkovito pri preprečevanju in zdravljenju epizod krvavitev pri bolnikih s hudo hemofilijo.

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



V študiji, ki je vključevala bolnike med 12. in 66. letom starosti, je 175 bolnikov, ki so vsake štiri dni ali dvakrat tedensko prejemali preventivno zdravljenje, v povprečju imelo približno štiri epizode krvavitv na leto, s čimer je bil dosežen cilj študije, tj. manj kot 8,5 epizode na leto. Ko so se epizode krvavitv pojavile, so bile v 94 % primerov uspešno ustavljene z eno ali dvema dodatnima injekcijama.

Dvanajst dodatnih bolnikov v tej študiji ni prejelo preventivnega zdravljenja, ampak so zdravilo Esperoct za zdravljenje krvavitv prejeli „na zahtevo“. Ti bolniki so imeli v povprečju približno 32 epizod krvavitv na leto, zdravilo Esperoct pa je bilo uspešno pri ustavljanju krvavitv v 97 % primerov po eni ali dveh injekcijah.

V drugi študiji, v katero je bilo vključenih 68 otrok, mlajših od 12 let, ki so predhodno prejemali druga zdravila s faktorjem VIII, so bolniki, ki so zdravilo Esperoct prejemali kot preventivno zdravljenje, v glavnem delu študije, ki je trajala 26 tednov, imeli približno dve epizodi krvavitv na leto. V dolgoročnem podaljšanju druge študije so otroci v povprečju doživeli manj kot eno epizodo krvavitve na leto; vse krvavitve so bile uspešno zdravljene z dodatnimi odmerki zdravila Esperoct.

V tretji glavni študiji, v katero je bilo vključenih 81 otrok, mlajših od šest let, ki predhodno niso prejemali zdravil s faktorjem VIII, so imeli otroci po ocenah v povprečju 1,8 krvavitve na leto; 93 % krvavitv je bilo uspešno ustavljenih z zdravilom Esperoct.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Esperoct?

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

Pri uporabi zdravila Esperoct se lahko pojavijo preobčutljivostne (alergijske) reakcije, ki so občasne (pojavijo se lahko pri največ 1 od 100 bolnikov), v nekaterih primerih pa lahko postanejo hude. Te vključujejo: otekanje, pekoč občutek in zbadanje na mestu injiciranja, mrzlico, vročinske oblike, srbeč izpuščaj, glavobol, koprivnico, nizek krvni tlak, letargijo, siljenje na bruhanje in bruhanje, nemir, hiter srčni utrip, tiščanje v prsih, mravljinčenje in piskajoče dihanje.

Zelo redko lahko bolnik razvije protitelesa proti beljakovinam hrčka, ki jih vsebuje zdravilo, kar povzroči alergijsko reakcijo. Zdravilo Esperoct se ne sme uporabljati pri bolnikih z alergijo na beljakovine hrčkov.

Po zdravljenju z zdravili s faktorjem VIII, vključno z zdravilom Esperoct, se lahko pri nekaterih bolnikih pojavijo zaviralci (protitelesa) faktorja VIII, ki izničijo delovanje zdravila in tako povzročijo izgubo nadzora nad krvavitvijo. V takem primeru se je treba obrniti na specializirani center za hemofilijo.

V kliničnih preskušanjih so se pri približno tretjini predhodno nezdravljenih bolnikov, ki so začeli jemati zdravilo Esperoct in pri katerih se niso pojavili zaviralci faktorja VIII, razvila protitelesa proti delu učinkovine polietilenglikol. To je privedlo do zmanjšane delovanja faktorja VIII, kar je pri nekaterih od teh bolnikov povzročilo izgubo nadzora nad krvavitvijo. Pri vseh bolnikih, ki so nadaljevali zdravljenje z zdravilom Esperoct, se je koncentracija faktorja VIII vrnila na normalno raven.

Zakaj je bilo zdravilo Esperoct odobreno v EU?

Študije so pokazale, da je zdravilo Esperoct učinkovito pri preprečevanju in zdravljenju krvavitv pri odraslih in otrocih s hemofilijo A. Ker je zdravilo „pegilirano“, potrebujejo bolniki, ki ga jemljejo, manj ali manj pogoste injekcije, kot bi jih pri standardnih zdravilih s faktorjem VIII.

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Esperoct 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 Esperoct?

Podjetje, ki trži zdravilo Esperoct, bo izvedlo študijo za proučitev morebitnega učinka kopičenja polietilen glikola v horoidnem pletežu možganov in drugih tkivih in organih.

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

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

Druge informacije o zdravilu Esperoct

Za zdravilo Esperoct je bilo 20. junija 2019 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije o zdravilu Esperoct so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esperoct.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 10-2024.