



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refixia (*nonakog beta pegol*)

Pregled zdravila Refixia in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Refixia in za kaj se uporablja?

Zdravilo Refixia se uporablja za zdravljenje in preprečevanje krvavitev pri bolnikih s hemofilijo B, tj. dedno motnjo strjevanja krvi, ki jo povzroča pomanjkanje faktorja IX, tj. beljakovine, potrebne za strjevanje krvi in zaustavitev krvavitve.

Zdravilo Refixia vsebuje učinkovino nonakog beta pegol.

Kako se zdravilo Refixia uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Refixia je le na recept, zdravljenje z njim pa mora biti pod nadzorom zdravnika z izkušnjami pri zdravljenju hemofilije.

Zdravilo Refixia se daje z injiciranjem v veno. Odmerek in pogostnost injiciranja sta odvisna od tega, ali se zdravilo Refixia uporablja za zdravljenje ali preprečevanje krvavitev ali za zmanjšanje krvavitev med kirurškim posegom, od obsega in mesta krvavitve in od bolnikove telesne mase.

Bolniki ali njihovi negovalci lahko po ustreznem usposabljanju zdravilo Refixia injicirajo sami doma. Za celotne informacije glejte navodilo za uporabo.

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

Kako zdravilo Refixia deluje?

Bolnikom s hemofilijo B primanjkuje faktorja IX, tj. beljakovine, potrebne za normalno strjevanje krvi, zato hitro zakrvavijo. Učinkovina v zdravilu Refixia, nonakog beta pegol, deluje v telesu enako kot humani faktor IX. Ta nadomešča manjkajoči faktor IX ter tako pripomore k strjevanju krvi in omogoči začasen nadzor nad krvavitvami.

Kakšne koristi zdravila Refixia so se pokazale v študijah?

Zdravilo Refixia se je pokazalo kot učinkovito pri zdravljenju in zmanjševanju števila epizod krvavitev.

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.

V študiji, ki je vključevala 74 odraslih in mladostnikov, starejših od 13 let, je 29 bolnikov, ki so prejeli zdravilo Refixia kot tedensko preventivno zdravljenje, imelo približno eno epizodo krvavitve na leto; 15 bolnikov, ki so prejeli zdravilo Refixia za zdravljenje krvavitve po potrebi, pa je imelo približno 16 epizod krvavitve na leto. Poleg tega je bilo ob pojavu krvavitve zdravljenje z zdravilom Refixia ocenjeno kot odlično ali dobro pri približno 92 % epizod krvavitve. 87 % epizod krvavitve so obvladali z eno injekcijo zdravila Refixia.

V drugi študiji pri 25 otrocih, mlajših od 13 let, ki so se predhodno zdravili z drugimi zdravili, ki vsebujejo faktor IX, so vsi bolniki prejeli zdravilo Refixia kot tedensko preventivno zdravljenje. Po enem letu zdravljenja so imeli približno eno epizodo krvavitve na leto. Zdravilo Refixia je bilo ocenjeno kot odlično ali dobro pri zdravljenju približno 93 % epizod krvavitve. Približno 86 % epizod krvavitve so obvladali z eno injekcijo. Študija je prav tako zagotovila podatke o dolgotrajni uporabi zdravila Refixia. V obdobju do osem let zdravljenja z zdravilom Refixia je bila povprečna letna stopnja krvavitve 0,9 krvavitve na leto. Zdravilo Refixia je bilo ocenjeno kot odlično ali dobro pri zdravljenju približno 89 % epizod krvavitve. Približno 82 % epizod krvavitve so obvladali z eno injekcijo zdravila Refixia.

V tretji študiji, v katero je bilo vključenih 50 otrok, mlajših od sedem let, ki predhodno niso bili zdravljeni z drugimi zdravili, ki vsebujejo faktor IX, so bolniki zdravilo Refixia prejeli enkrat na teden kot preventivno zdravljenje. V obdobju do šestih let zdravljenja z zdravilom Refixia je bila povprečna letna stopnja krvavitve 0,7 krvavitve na leto. Zdravilo Refixia je bilo ocenjeno kot odlično ali dobro pri zdravljenju približno 96 % epizod krvavitve. Približno 91 % epizod krvavitve so obvladali z eno injekcijo zdravila Refixia.

Rezultati obeh študij pri otrocih so pokazali tudi, da so bolniki po približno šestih letih zdravljenja z zdravilom Refixia dosegli stabilne ravni faktorja IX, in sicer v razponu, pričakovanem pri bolnikih z blago hemofilijo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Refixia?

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

Preobčutljivostne (alergijske) reakcije so pri zdravilu Refixia občasne (lahko se pojavijo pri največ 1 bolniku od 100) in lahko vključujejo oteklino, pekoč občutek in zbadanje na mestu injiciranja, mrzlico, vročinske oblike, srbeč izpuščaj, glavobol, koprivnico, nizek krvni tlak, letargijo, slabost in bruhanje, nemir, hiter srčni utrip, tiščanje v prsnem košu in piskajoče dihanje. V nekaterih primerih lahko te reakcije postanejo resne.

Pri bolnikih, ki jemljejo zdravila s faktorjem IX, obstaja tudi tveganje, da se bodo pri njih pojavili zaviralci (protitelesa) faktorja IX, ki bodo izničili njegovo delovanje ter tako povzročili izgubo nadzora nad krvavitvijo. Zdravila s faktorjem IX lahko povzročijo tudi težave zaradi nastajanja krvnih strdkov v krvnih žilah.

Zdravilo Refixia se ne sme uporabljati pri bolnikih, ki so alergični na nonakog beta pegol ali katero koli sestavino zdravila, niti pri bolnikih z znano alergijo na beljakovine hrčka.

Zakaj je bilo zdravilo Refixia odobreno?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Refixia večje od z njim povezanih tveganj, in priporočila, da se odobri za uporabo v EU.

Študije so pokazale, da zdravilo Refixia učinkovito preprečuje in zdravi epizode krvavitve pri bolnikih s hemofilijo B in da je varnost zdravila primerljiva z varnostjo drugih zdravil s faktorjem IX. Vendar pa

se lahko del učinkovine zdravila Refixia (imenovan polietilenglikol ali PEG) po dolgotrajnem zdravljenju začne kopičiti v telesu, vključno v strukturi v možganih, imenovani horoidni pletež.

Dolgotrajna uporaba zdravila Refixia pri otrocih, mlajših od 13 let, vzdržuje število letnih epizod krvavitve na nizki ravni. Poleg tega je bilo ocenjeno, da zdravilo Refixia zagotavlja zaščito pred epizodami krvavitve z ustvarjanjem stabilnih ravni faktorja IX pri otrocih, mlajših od 13 let, ki so prejeli to zdravilo za preprečevanje krvavitve. Zdravilo Refixia pred tem ni bilo odobreno za otroke, mlajše od 12 let, zaradi pomislekov glede kopičenja polietilenglikola (PEG) pri majhnih otrocih. Izčrpni podatki iz študij, vključno s podatki o dolgotrajni uporabi zdravila, niso pokazali nobene povezave z neželenimi učinki na živčni sistem zaradi kopičenja PEG.

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

Podjetje, ki trži zdravilo Refixia, bo izvedlo študijo za proučitev potencialnega učinka kopičenja PEG v horoidnem pletežu v možganih in drugih organih.

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

Druge informacije o zdravilu Refixia

Za zdravilo Refixia je bilo 2. junija 2017 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Refixia so na voljo na spletni strani agencije:

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

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 07-2023.