

EMA/764628/2017
EMA/H/C/004195

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Adynovi

rurioktokog alfa pegol

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Adynovi. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Adynovi ska användas.

Praktisk information om hur Adynovi ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Adynovi och vad används det för?

Adynovi är ett läkemedel som används för att behandla och förebygga blödning hos patienter med hemofili A, en ärftlig blödningssjukdom som beror på brist på ett koagulationsprotein som kallas faktor VIII. Det kan ges till vuxna och ungdomar från 12 års ålder.

Adynovi innehåller den aktiva substansen rurioktokog alfa pegol.

Hur används Adynovi?

Adynovi är receptbelagt och behandling ska inledas under överinseende av läkare som har erfarenhet av att behandla hemofili.

Adynovi finns som ett pulver och en vätska som blandas till en injektionsvätska, lösning för injektion i en ven. Dos och behandlingsintervall beror på om det används för att behandla eller förebygga blödning, samt på hemofilins svårighetsgrad, omfattning och platsen för blödningen samt patientens tillstånd och kroppsvikt. Patienter eller deras vårdare kan själva ge Adynovi hemma efter att de fått lämplig utbildning.

Närmare information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Adynovi?

Patienter med hemofili A har brist på faktor VIII, ett protein som krävs för blodets normala koagulering, och de har därför lätt för att blöda. Den aktiva substansen i Adynovi, rurioktokog alfa pegol, verkar i kroppen på samma sätt som human faktor VIII. Den ersätter den saknade faktor VIII, och hjälper på så sätt blodet att koagulera och ger tillfällig kontroll över blödningssjukdomen.

Vilken nytta med Adynovi har visats i studierna?

Adynovi har i två huvudstudier visat sig vara effektivt när det gäller att förebygga och behandla blödningsepisoder hos patienter med allvarlig hemofili som tidigare hade behandlats med andra faktor VIII-produkter.

I en studie på 138 vuxna och ungdomar från 12 års ålder, hade 120 patienter som fick Adynovi som förebyggande behandling två gånger i veckan omkring 4 blödningsepisoder om året, i genomsnitt, medan 17 patienter som fick Adynovi för behandling av blödningar "vid behov" hade omkring 43 blödningsepisoder om året. Adynovi fick dessutom bedömningen utmärkt eller god vid behandling av omkring 96 procent av blödningsepisoderna när blödning inträffade. Omkring 96 procent av blödningsepisoderna upphörde vid en eller två injektioner med Adynovi.

I den andra studien på 66 barn under 12 års ålder, fick alla patienter Adynovi som förebyggande behandling två gånger i veckan i omkring 6 månader. Under denna period hade omkring 38 procent av patienterna (25 av 66) inga blödningsepisoder alls, och ingen av patienterna utvecklade antikroppar mot Adynovi, vilket kan få läkemedlet att sluta verka. Adynovi fick dessutom bedömningen utmärkt eller god vid behandling av omkring 90 procent av blödningsepisoderna när blödning inträffade. Omkring 83 procent av blödningsepisoderna upphörde vid en injektion.

Vilka är riskerna med Adynovi?

Överkänslighetsreaktioner (allergiska reaktioner) är mindre vanliga med Adynovi (uppkommer hos upp till 1 av 100 personer) och kan inkludera svullnad, sveda och smärta på injektionsstället, frossa, blodvallningar, kliande utslag, huvudvärk, nässelutslag, lågt blodtryck, letargi, illamående och kräkning, rastlöshet, hjärklappning, trånghet i bröstet och väsande andning. I vissa fall kan dessa reaktioner bli allvarliga.

Efter behandling med faktor VIII-läkemedel, inklusive Adynovi, finns det en risk att vissa patienter utvecklar hämmare (antikroppar) mot faktor VIII, vilket leder till att läkemedlet slutar verka med förlorad blödningskontroll som följd. I dessa fall ska en specialiserad hemofiliavdelning kontaktas.

En fullständig förteckning över biverkningar finns i bipacksedeln.

Adynovi ska inte ges till patienter som är överkänsliga (allergiska) mot rurioktokog alfa pegol eller den relaterade substansen oktokog alfa eller mot något annat innehållsämne i läkemedlet, och inte heller till patienter med känd allergi mot mus- eller hamsterproteiner.

Varför godkänns Adynovi?

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att nyttan med Adynovi är större än riskerna och rekommenderade att Adynovi skulle godkännas för försäljning i EU. Studier visar att Adynovi är effektivt vid förebyggande och behandling av blödningsepisoder hos patienter med hemofili A och att dess säkerhet är jämförbar med den för andra faktor VIII-produkter. En viss del av den aktiva substansen i Adynovi (kallas PEG) kan dock ansamlas i kroppen efter långvarig behandling, bland annat i en struktur i hjärnan som kallas plexus choroideus. Eftersom detta potentiellt skulle kunna ge

problem hos i synnerhet barn under 12 års ålder, är Adynovi bara godkänt för användning till vuxna och barn från 12 års ålder.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Adynovi?

Företaget som marknadsför Adynovi kommer att utföra en studie för att undersöka de potentiella effekterna av PEG-ansamling i plexus choroideus i hjärnan och andra organ.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Adynovi har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Adynovi

EPAR för Adynovi finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Adynovi finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.