



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267619/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*hydrokortison*)

Sammanfattning av Efmody och varför det är godkänt inom EU

Vad är Efmody och vad används det för?

Efmody är ett läkemedel som används för att behandla ett ärftligt tillstånd som kallas kongenital binjurebarkshyperplasi hos patienter som är 12 år eller äldre.

Kongenital binjurebarkshyperplasi är en sällsynt sjukdom och Efmody klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 27 juli 2005. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Efmody innehåller den aktiva substansen hydrokortison och är ett "hybridläkemedel". Detta innebär att det liknar ett referensläkemedel som innehåller samma aktiva substans, men Efmody har ett annat användningsområde och finns i andra styrkor som kapslar som har utformats för att frisätta den aktiva substansen under en längre period. Referensläkemedlet för kapslar med Efmody är tabletter med Hydrocortone.

Hur används Efmody?

Efmody finns som kapslar med modifierad frisättning och är receptbelagt. Behandling ska inledas av läkare som har erfarenhet av att behandla kongenital binjurebarkshyperplasi.

Den rekommenderade dosen Efmody för vuxna och barn som har slutat växa är 15–25 mg om dagen. För ungdomar som inte har slutat växa baseras dosen på deras vikt och längd. Den dagliga dosen kan justeras vid behov beroende på patientens individuella svar. Två tredjedelar till tre fjärdedelar av den dagliga dosen tas på kvällen vid sänggåendet, minst två timmar efter den senaste måltiden, och resten på morgonen minst en timme före måltid.

Patienterna kan behöva ta ytterligare hydrokortisonläkemedel under psykiskt eller fysiskt påfrestande perioder, till exempel vid operationer och infektioner.

För mer information om hur du använder Efmody, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.



Hur verkar Efmody?

Personer med kongenital binjurebarkshyperplasi kan inte bilda tillräckligt av det naturliga kortikosteroidhormonet kortisol (och ibland ett annat hormon, aldosteron). Kortisol bildas normalt i binjurarna (små körtlar strax ovanför njurarna) och bidrar till att reglera andra hormoner och kroppens svar på stress samt salt- och vattenbalansen i kroppen. Personer med tillståndet har också förhöjda halter av manliga könshormoner, vilket kan resultera i tillväxt- och fertilitetsproblem.

Efmody innehåller hydrokortison, en syntetisk form av kortisol, och släpper långsamt ut det i tarmen för att ersätta det naturliga hormonet i kroppen, enligt liknande mönster som den naturliga dagliga utsöndringen av kortisol. Detta hjälper till att återställa en mer normal hormonbalans och minimera andra aspekter av tillståndet.

Vilka fördelar med Efmody har visats i studierna?

Fördelarna med Efmody har visats i en huvudstudie på 122 patienter med kongenital binjurebarkshyperplasi. Efmody jämfördes med standardbehandling som omfattade andra kortikosteroidläkemedel. Huvudeffektmåttet var en poäng baserad på nivåerna av 17-OHP, en hormonell substans som tyder på förhöjda halter av manliga könshormoner vid okontrollerad kongenital binjurebarkshyperplasi. En minskning av denna poäng under studiens gång visade att kontrollen förbättrats. Under de 24 veckor som studien pågick minskade denna poäng med 0,403 hos patienter som behandlades med Efmody, jämfört med 0,172 hos dem som fick standardbehandlingen. Även om denna skillnad inte var tillräcklig för att tydligt visa att Efmody fungerade bättre än standardbehandlingen tydde mätningarna även på en förbättrad kontroll av nivåerna av 17-OHP på morgonen.

Stödande data från en pågående uppföljningsstudie visade att kontrollen av kongenital binjurebarkshyperplasi kan upprätthållas med Efmody på längre sikt.

Vilka är riskerna med Efmody?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Efmody (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är trötthet. Andra vanliga biverkningar av Efmody (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är huvudvärk, ökad aptit, yrsel och viktökning. Den vanligaste allvarliga biverkningen är akut binjuresvikt (när ett kortikosteroidläkemedel inte kan ge tillräckligt med hydrokortison som svar på ökade kortisolbehov under stress eller infektion, vilket kan yttra sig genom kräkningar eller sjukdomskänsla).

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Efmody finns i bipacksedeln.

Varför är Efmody godkänt i EU?

Efmody gav tillräcklig kontroll över kongenital binjurebarkshyperplasi och de sammanlagda uppgifterna tydde på förbättrad hormonbalans. De långsiktiga uppgifterna tydde på att denna kan upprätthållas, i vissa fall genom att ge lägre doser av kortikosteroider än tidigare och på så sätt minska risken för biverkningar vid långtidsbehandling. Hydrokortison med modifierad frisättning ansågs ha ett kliniskt värde då det möjliggör dosering som liknar den dagliga rytmen för naturlig utsöndring av kortisol. De rapporterade biverkningarna av Efmody är i linje med dem som förväntas när hydrokortison tas genom munnen. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Efmody är större än riskerna och att Efmody kan godkännas för försäljning i EU.

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

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Efmody har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Efmody kontinuerligt.

Biverkningar som har rapporterats för Efmody utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienter.

Mer information om Efmody

Mer information om Efmody finns på EMA:s webbplats:

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