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

# Esperoct (*turoktokog alfa pegol*)

Sammanfattning av Esperoct och varför det är godkänt inom EU

## Vad är Esperoct och vad används det för?

Esperoct är ett läkemedel som används för att behandla och förebygga blödning hos barn, ungdomar och vuxna med hemofili A, en ärftlig blödningssjukdom som orsakas av brist på faktor VIII, ett protein som hjälper blodet att koagulera.

Den aktiva substansen i Esperoct är turoktokog alfa pegol.

## Hur används Esperoct?

Esperoct är receptbelagt och behandling ska inledas av en läkare med erfarenhet av att behandla hemofili.

Läkemedlet ges som en injektion i en ven. Dos, behandlingsfrekvens och behandlingslängd beror på patientens ålder, om läkemedlet används för att behandla eller förebygga blödning samt på hemofilins svårighetsgrad, blödningens omfattning och plats samt patientens tillstånd och vikt. Patienterna eller deras vårdare kan själva injicera Esperoct hemma efter att de fått lämplig utbildning.

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

## Hur verkar Esperoct?

Patienter med hemofili A har brist på faktor VIII, ett protein som behövs för att blodet ska kunna koagulera normalt, och de har därför lätt för att blöda. Den aktiva substansen i Esperoct, turoktokog 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, vilket ger tillfällig kontroll över blödningssjukdomen.

En del av den aktiva substansen ”pegyleras”, vilket innebär att kemikalien polyetylenglykol (PEG) tillförs för att hjälpa läkemedlet att stanna kvar i kroppen under längre tid och därmed förlänger läkemedlets verkan.

**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, 2024. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

## Vilka fördelar med Esperoct har visats i studierna?

Studier har visat att Esperoct är effektivt när det gäller att förebygga och behandla blödningsepisoder hos patienter med svår hemofili.

I en huvudstudie fick 175 patienter i åldern 12–66 år Esperoct som förebyggande behandling var fjärde dag eller två gånger i veckan. Under behandlingen drabbades patienterna i genomsnitt av omkring fyra blödningsepisoder per år, vilket innebar att studiens mål – att understiga 8,5 episoder per år – uppnåddes. När blödningsepisoder inträffade behandlades de med framgång med en eller två ytterligare injektioner i 94 procent av fallen.

Tolv av patienterna i denna studie fick ingen förebyggande behandling, utan gavs Esperoct efter behov när blödningar uppstod. Dessa patienter hade i genomsnitt omkring 32 blödningsepisoder per år. I 97 procent av dessa fall stoppades blödningen efter en eller två Esperoct-injektioner.

I en andra studie på 68 barn under 12 år som tidigare fått andra faktor VIII-läkemedel förekom omkring två blödningsepisoder per år vid behandling med Esperoct under huvuddelen av studien, som varade i 26 veckor. I en långvarig förlängning av den andra studien hade barnen i genomsnitt färre än en blödningsepisod om året. Alla blödningar behandlades framgångsrikt med ytterligare doser av Esperoct.

I en tredje huvudstudie, som omfattade 81 barn under 6 år som inte tidigare fått faktor VIII-läkemedel, hade barnen i genomsnitt 1,8 blödningsepisoder per år; 93 procent av blödningarna behandlades framgångsrikt med Esperoct.

## Vilka är riskerna med Esperoct?

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

Överkänslighetsreaktioner (allergiska reaktioner) kan förekomma vid behandling med Esperoct. Dessa är mindre vanliga (förekommer hos upp till 1 av 100 användare) och kan i vissa fall bli allvarliga. Dessa reaktioner kan bestå av svullnad, en brännande och stickande känsla vid injektionsstället, frossa, blodvallningar, kliande utslag, huvudvärk, nässelfeber, lågt blodtryck, letargi, illamående och kräkningar, rastlöshet, snabba hjärtslag, tryck över bröstet, stickningar och väsande andning.

I mycket sällsynta fall kan patienten utveckla antikroppar mot det hamsterprotein som ingår i läkemedlet och få allergiska reaktioner. Esperoct får inte ges till patienter med allergi mot hamsterprotein.

Efter behandling med faktor VIII-läkemedel, inklusive Esperoct, 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 sådana fall bör en specialiserad hemofiliavdelning kontaktas.

Omkring en tredjedel av de tidigare obehandlade patienter som påbörjade behandling med Esperoct, som inte utvecklade hämmare mot faktor VIII, utvecklade i kliniska prövningar antikroppar mot PEG-delen av den aktiva substansen. Detta ledde till minskad faktor VIII-aktivitet, vilket resulterade i förlorad blödningskontroll hos vissa av dessa patienter. Faktor VIII-aktiviteten återgick till det normala hos alla patienter som fick fortsatt behandling med Esperoct.

## Varför är Esperoct godkänt i EU?

Studier har visat att Esperoct effektivt förebygger och behandlar blödning hos vuxna och barn med hemofili A. Eftersom Esperoct är ”pegylerat” behöver inte patienterna ta lika många injektioner eller ta dem lika ofta som konventionella FVIII-läkemedel.

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att fördelarna med Esperoct är större än riskerna och att Esperoct kan godkännas för försäljning i EU.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Esperoct?

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

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

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Esperoct kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Esperoct utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

## Mer information om Esperoct

Den 20 juni 2019 beviljades Esperoct ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Esperoct finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esperoct.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 10-2024.