

EMA/663763/2014
EMA/H/C/003771

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Rixubis

nonacog gamma

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Rixubis. 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 Rixubis ska användas.

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

Vad är Rixubis och vad används det för?

Rixubis är ett läkemedel som används för att behandla och förebygga blödningar hos patienter med hemofili B, en ärftlig blödningssjukdom som orsakas av brist på faktor IX. Det kan användas till patienter i alla åldrar, och för kortvarig eller långvarig användning. Rixubis innehåller den aktiva substansen nonacog gamma.

Hur används Rixubis?

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

Rixubis finns som ett pulver och en lösning som blandas till en injektionsvätska, lösning för injektion i en ven. Dos och behandlingsfrekvens beror på patientens kroppsvikt och om Rixubis används för att behandla eller förebygga blödningar, liksom på hemofilins svårighetsgrad, blödningens omfattning och plats samt patientens ålder och hälsa. Mer information finns i produktresumén (ingår också i EPAR).

Patienter eller deras vårdare kan själva ge Rixubis hemma efter att de fått lämplig utbildning. Fullständig information finns i bipacksedeln.



Hur verkar Rixubis?

Patienter med hemofili B saknar faktor IX, som behövs för att blodet ska levra sig (koagulera) ordentligt. Denna brist orsakar problem med blodets koagulering, med blödningar i leder, muskler eller inre organ. Den aktiva substansen i Rixubis, nonacog gamma, är en version av mänsklig faktor IX och hjälper blodet att koagulera på samma sätt. Rixubis kan därför användas för att ersätta den saknade faktor IX och ger tillfällig kontroll av blödningssjukdomen.

Nonacog gamma utvinns inte från mänskligt blod utan framställs genom en metod som kallas "rekombinant DNA-teknik": det framställs av hamsterceller i vilka en gen (DNA) har införts som gör att cellerna kan framställa den mänskliga koagulationsfaktorn.

Vilken nytta med Rixubis har visats i studierna?

Nyttan med Rixubis vid behandling och förebyggande av blödningsepisoder har visats i tre huvudstudier med patienter som hade svår eller måttligt svår hemofili B. Ingen av dessa studier jämförde effekten av Rixubis direkt med ett annat läkemedel. Effekten när det gäller att stoppa blödningar uppmättes på en standardskala, där "utmärkt" innebar fullständig smärtlindring och inga tecken på blödning efter en enskild dos med läkemedlet, och "god" innebar smärtlindring och tecken på förbättring efter en enskild dos, även om ytterligare doser eventuellt kan behövas för fullständig resolution.

I den första studien, på 73 patienter i åldern 12 till 59 år, behandlades 249 blödningsepisoder med Rixubis. Effekten av behandling när det gäller att stoppa blödningsepisoderna bedömdes som utmärkt i 41 procent av fallen och god i ytterligare 55 procent. Vid förebyggande av blödningar var den genomsnittliga blödningsfrekvensen under behandlingen 4,26 blödningar per år, jämfört med ett genomsnitt av omkring 17 per år före inskrivningen. I en andra studie deltog 23 barn från strax under 2 års ålder till nästan 12 år, som upplevde 26 blödningsepisoder under studien: behandlingen av blödningsepisoder bedömdes som utmärkt i 50 procent av fallen och god i ytterligare 46 procent, och den genomsnittliga blödningsfrekvensen sänktes från 6,8 till 2,7 blödningar per år. I en tredje studie gavs Rixubis till 14 patienter som genomgick kirurgi; behandling med Rixubis höll blodförlusten under operationen på de nivåer som förväntas hos patienter utan hemofili B.

Utvärderingen av dessa studier visade även att Rixubis fördelades i kroppen på ett liknande sätt som en annan godkänd faktor IX-produkt.

Vilka är riskerna med Rixubis?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Rixubis (kan drabba upp till 1 av 10 personer) är dysgeusi (smakstörningar) och smärta i armar och ben. Överkänslighetsreaktioner (allergiska reaktioner) kan uppstå i sällsynta fall, och kan omfatta angioödem (svullnad i vävnader under huden), brännande och stickande känsla vid injektionsstället, frossa, vallningar, klåda och hudutslag, huvudvärk, nässelfeber, hypotoni (lågt blodtryck), känsla av trötthet eller rastlöshet, illamående eller uppkastning, takykardi (snabba hjärtslag), tryck över bröstet, vislande andningsljud och sveda. I vissa fall kan biverkningarna bli allvarliga (anafylaxi) och kan förknippas med farligt branta blodtrycksfall. En fullständig förteckning över biverkningar med Rixubis finns i bipacksedeln.

Rixubis får inte ges till patienter som är överkänsliga (allergiska) mot nonacog gamma eller mot något annat innehållsämne, eller som har känt allergi mot hamsterprotein.

Varför godkänns Rixubis?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Rixubis är större än riskerna och rekommenderade att Rixubis skulle godkännas för försäljning i EU. Kommittén fann att Rixubis hade

visat sig vara effektivt vid behandling och förebyggande av blödningsepisoder hos vuxna och barn med hemofili B och även effektivt när det gäller att låta dem genomgå kirurgi på ett säkert sätt. Säkerhetsprofilen ansågs godtagbar och övervägdes av de gynnsamma effekterna.

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

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Rixubis används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Rixubis. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

I [sammanfattningen av riskhanteringsplanen](#) finns mer information.

Mer information om Rixubis

Den 19 december 2014 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Rixubis som gäller i hela EU.

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 01-2015.