

Από τον EMA

Εγκρίθηκε νέο φάρμακο για ενήλικες και εφήβους με αιμορροφιλία A

Δημοσίευση: 12 Μαρ 2018, 15:02 | Τελευταία ενημέρωση: 12 Μαρ 2018, 15:02



Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων ενέκρινε τον Ανασυνδυασμένο Πεγκυλιωμένο Αντισταμορροφιλικό Παράγοντα, μια θεραπεία με ανασυνδυασμένο παράγοντα VIII (rFVIII) παρατεταμένου χρόνου ημίσειας ζωής, για κατ' απαίτηση και προφυλακτική θεραπεία σε ασθενείς ηλικίας 12 ετών και άνω που πάσχουν από αιμορροφιλία A.

Αξίζει να σημειωθεί ότι είχε προηγηθεί η έγκριση του νέου παράγοντα από τον Αμερικανικό Οργανισμό Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) και στη συνέχεια ακολούθησαν εγκρίσεις στην Ιαπωνία, τον Καναδά, την Κολομβία και την Ελβετία.

Η κυκλοφορία του Ανασυνδυασμένου Πεγκυλιωμένου Αντισταμορροφιλικού Παράγοντα υποστηρίζεται από τις εκβάσεις τριών κλινικών μελετών

Φάσης III σε ασθενείς με αιμορροφιλία A. Στις μελέτες αυτές περιλαμβάνεται μία προοπτική, παγκόσμια, πολυκεντρική, ανοικτή, μη τυχαιοποιημένη μελέτη ασθενών ηλικίας 12 έως 65 ετών, μία προοπτική, μη ελεγχόμενη, ανοικτή, πολυκεντρική μελέτη ασθενών ηλικίας έως 12 ετών, καθώς και μία μελέτη περιεχρηθητικού ελέγχου της αιμόστασης με ενδιάμεσα αποτελέσματα μελέτης από 15 ασθενείς με σοβαρή αιμορροφιλία A που υποβλήθηκαν σε χειρουργικές επεμβάσεις.

Οι συχνότερα αναφερόμενες ανεπιθύμητες ενέργειες στις κλινικές μελέτες ήταν: Κεφαλαλγία, Διάρροια, Ναυτία, Εξάνθημα.

Αντένδειξη στη χορήγηση του νέου παράγοντα είναι η υπερευαισθησία στη δραστική ουσία, στο μητρικό μόριο οστέος alpha ή σε κάποιο από τα έκδοχα που αναφέρονται στην Περίληψη των οδηγιών χρήσης του προϊόντος, καθώς και η αλλεργική αντίδραση σε πρωτεΐνη ποντικού ή κρικητού.

Εάν εκδηλωθούν συμπτώματα υπερευαισθησίας, οι ασθενείς θα πρέπει να ενημερώνονται να διακόψουν άμεσα τη χρήση του φαρμακευτικού προϊόντος και να επικοινωνήσουν με τον γιατρό τους. Οι ασθενείς θα πρέπει να ενημερώνονται για τα πρώιμα σημεία αντιδράσεων υπερευαισθησίας που περιλαμβάνουν κνίδωση, γενικευμένη κνίδωση (ουρτικάρια), αίσθημα σύσφιξης στον θώρακα, συριγμό, υπόταση και αναφυλαξία.

Ο σχηματισμός εξουδετερωτικών αντισωμάτων (αναστολέων) έναντι του παράγοντα VIII είναι μια γνωστή επιπλοκή στην αντιμετώπιση ασθενών με αιμορροφιλία A. Αυτοί οι αναστολείς είναι συνήθως ανοσοσφαιρίνες IgG που κατευθύνονται εναντίον της προηγουμένης δραστικότητας του παράγοντα VIII και που εκφράζονται ποσοτικά σε Μονάδες Bethesda (BU) ανά ml πλάσματος με χρήση του τροποποιημένου προσδιορισμού.

Γενικά, όλοι οι ασθενείς που λαμβάνουν θεραπεία με προϊόντα που περιέχουν παράγοντα πήξης VIII πρέπει να παρακολουθούνται προσεκτικά για την ανάπτυξη αναστολέων με κατάλληλες κλινικές παρατηρήσεις και εργαστηριακές δοκιμασίες. Εάν δεν επιτευχθούν τα αναμενόμενα επίπεδα δραστικότητας του παράγοντα VIII στο πλάσμα ή εάν η αιμορραγία δεν ελέγχεται με χορήγηση της κατάλληλης δόσης, πρέπει να γίνει μια δοκιμασία ώστε να προσδιοριστεί πιθανή ύπαρξη αναστολέα του παράγοντα VIII.

Μετά την ανασύσταση αυτό το φαρμακευτικό προϊόν περιέχει 0.45 mmol νατρίου (10 mg) ανά φιαλίδιο.

Η Αιμορροφιλία A, που έχει χαρακτηριστεί ορφανή νόσος από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή, είναι μια σπάνια αιμορραγική διαταραχή που προκαλεί αιμορραγία με διάρκεια μεγαλύτερη από τη φυσιολογική λόγω έλλειψης του παράγοντα πήξης VIII (FVIII) στο αίμα.

Η βαρύτητα της αιμορροφιλίας A καθορίζεται από την ποσότητα του παράγοντα στο αίμα, ενώ η χαμηλότερη ποσότητα του παράγοντα σχετίζεται με αυξημένη βαρύτητα της νόσου. Περισσότεροι από τους μισούς ασθενείς με αιμορροφιλία A πάσχουν από τη σοβαρή μορφή της διαταραχής.

Σήμερα, περίπου 150.000 άτομα πάσχουν από αιμορροφιλία A σε ολόκληρο τον κόσμο. Η νόσος προσβάλλει κυρίως άρρενες, με επίπτωση 1 περίπτωση ανά 5.000 γεννήσεις αρρένων σε παγκόσμιο επίπεδο.

health.in.gr