



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/429977/2020  
EMA/H/C/002284

## NovoThirteen (*katridekakog*)

A NovoThirteen-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer az NovoThirteen és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A NovoThirteen a XIII-as faktor A alegységének veleszületett hiányában, egy örökletes véralvadási zavarban szenvedő betegeknél alkalmazott, fokozott vérzést gátló gyógyszer. A vérzés megelőzésére és a megelőző kezelés alatt jelentkező vérzéses epizódok kezelésére alkalmazzák.

A NovoThirteen hatóanyaga a katridekakog.

### **Hogyan kell alkalmazni a NovoThirteen-t?**

A NovoThirteen csak receptre kapható, és a kezelést a ritka vérzési rendellenességek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvos felügyelete alatt kell megkezdeni.

A NovoThirteen-t vénába adott injekció formájában alkalmazzák. Megelőzésre havonta egyszer alkalmazzák, hosszú távú kezelésként. Az adag a beteg testsúlyától és időnként a vér XIII-as faktor szintjétől függ. A megelőző kezelés során fellépő vérzéses epizódok kezelésére a beteg egyetlen adagot kap a testsúlya, illetve a XIII-as faktor szintje alapján a kisebb műtétek okozta vérzések megelőzése érdekében.

A NovoThirteen alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

### **Hogyan fejt ki hatását a NovoThirteen?**

A XIII-as faktor olyan fehérje, amely a véralvadási folyamatban vesz részt. A XIII-as faktor A alegység néven ismert specifikus összetevője megszilárdítja a vérrögöket és megakadályozza a további vérzést. A XIII-as faktor A alegységének veleszületett hiányában szenvedő betegek szervezetében nincs elegendő A alegység, vagy nem működik megfelelően, ami miatt a betegek hajlamosak a túlzott mértékű vérzésre. A NovoThirteen hatóanyaga, a katridekakog, ugyanolyan kémiai szerkezettel rendelkezik, mint a humán XIII-as faktor A alegység. A XIII-as faktor A alegységének pótlása révén a NovoThirteen hozzájárul a vérzések megelőzéséhez ezeknél a betegeknél.



## **Milyen előnyei voltak a NovoThirteen alkalmazásának a vizsgálatok során?**

A NovoThirteen-t 41, a XIII-as faktor A alegységének veleszületett hiányában szenvedő, XIII-as faktort tartalmazó gyógyszerekkel korábban már kezelt, 6 évesnél idősebb beteg bevonásával egy fő vizsgálatban tanulmányozták. A NovoThirteen-nel megelőző jelleggel kezelt betegeknek évente átlagosan 0,15 olyan vérzéses epizód fordult elő, amely XIII-as faktor kezelést igényelt. Ezzel szemben a vérzés kontrollálására szükség esetén adott másik XIII-as faktor gyógyszerrel kezelt betegeknek évente körülbelül 2,9 epizód fordult elő.

6, 6 évesnél fiatalabb gyermeknél a NovoThirteen biztonságosságát és hatásosságát egy olyan hosszú távú vizsgálat adataival támasztották alá, amelyben a betegek a vérzések megelőzésére NovoThirteen-t kaptak. A NovoThirteen-nel kezelt gyermekeknek nem fordult elő vérzéses epizód.

Egy további vizsgálatban 30, NovoThirteen-nel a megelőzés céljából kezelt beteg vett részt. 6, sérülés okozta és XIII-as faktor gyógyszert igénylő vérzéses epizód közül 5-öt a NovoThirteen egyetlen adagjával jó eredményekkel sikerült kezelni. A vérzés kontrollja szintén kielégítő maradt egy olyan betegnél, aki egyetlen adag NovoThirteen-t kapott két kisebb műtétet megelőzően.

## **Milyen kockázatokkal jár a NovoThirteen alkalmazása?**

A NovoThirteen leggyakoribb mellékhatása (3 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás. További gyakori mellékhatások (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a leukopénia (a fehérvérsejtek, beleértve a fertőzéseket leküzdő neutrofilek alacsony száma), kar- és lábfájdalom, fájdalom az injekció beadásának helyén, valamint a XIII-as faktorhoz kapcsolódó antitestek, valamint a „fibrin D-dimer” nevű kisméretű fehérjetöredékek jelenléte a vérben.

A NovoThirteen alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## **Miért engedélyezték a NovoThirteen forgalomba hozatalát az EU-ban?**

A fő vizsgálat kielégítő eredményeket nyújtott a XIII-as faktor A alegységének veleszületett hiánya esetén alkalmazott NovoThirteen hosszú távú alkalmazásának hatásosságával kapcsolatban, mivel a kezelés alatt nem fordult elő súlyos vagy életveszélyes vérzés. Azoknál a betegeknek is, akik már megelőző kezelésben részesültek, a NovoThirteen egyszeri alkalmazása hatásos volt a vérzéses epizódok kezelésében. A NovoThirteen hosszú távú alkalmazása során nem észleltek jelentős mellékhatásokat.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a NovoThirteen alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a NovoThirteen biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A NovoThirteen biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A NovoThirteen alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A NovoThirteen alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **A NovoThirteen-nel kapcsolatos egyéb információ**

2012. szeptember 3-án a NovoThirteen az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A NovoThirteen-re vonatkozó további információ az Ügynökség weboldalán található:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/novothirteen](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/novothirteen).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 08-2020.