



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244278/2019
EMA/H/C/004883

Esproct (*turoctocog alfa pegol*)

Een overzicht van Esproct en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Esproct en wanneer wordt het voorgeschreven?

Esproct is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling en preventie van bloedingen bij patiënten met hemofilie A, een erfelijke bloedingsstoornis die wordt veroorzaakt door een tekort aan het stollingseiwit factor VIII. Esproct kan worden gebruikt bij volwassenen en kinderen vanaf twaalf jaar.

Esproct bevat de werkzame stof turoctocog alfa pegol.

Hoe wordt Esproct gebruikt?

Esproct is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door een arts die ervaring heeft met de behandeling van hemofilie.

Esproct wordt toegediend via een injectie in een ader. De dosering, frequentie en duur van de behandeling hangen af van de vraag of Esproct wordt gebruikt om bloedingen te behandelen of te voorkomen alsook van de ernst van de hemofilie, de omvang en locatie van de bloeding en de fysieke gesteldheid en het gewicht van de patiënt. Patiënten of hun verzorgers kunnen Esproct zelf thuis injecteren zodra ze hierin voldoende zijn geoefend.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Esproct.

Hoe werkt Esproct?

Patiënten met hemofilie A hebben een tekort aan factor VIII, een eiwit dat nodig is voor een normale bloedstolling, en als gevolg hiervan bloeden ze gemakkelijk. De werkzame stof in Esproct, turoctocog alfa pegol, werkt in het lichaam op dezelfde manier als humane factor VIII. Het vervangt de ontbrekende factor VIII zodat de stolling van het bloed wordt bevorderd en de stollingsstoornis tijdelijk onder controle wordt gebracht.

De werkzame stof is 'gepegyleerd' (gehecht aan de chemische stof polyethyleenglycol (PEG)). Door toevoeging van PEG blijft het geneesmiddel langer in het lichaam en is het langer werkzaam.

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



Welke voordelen bleek Esperoct tijdens de studies te hebben?

Esperoct is effectief gebleken voor de preventie en behandeling van bloedingsepisoden bij patiënten met ernstige hemofilie die eerder werden behandeld met andere factor VIII-producten.

In een studie onder patiënten in de leeftijd van 12 tot 66 jaar kregen 175 patiënten Esperoct als preventieve behandeling elke vier dagen of tweemaal per week. Ze hadden gemiddeld ongeveer vier bloedingsepisoden per jaar. Daarmee was het doel van de studie bereikt, te weten minder dan 8,5 episoden per jaar. Wanneer bloedingsepisoden optraden, konden deze in 94% van de gevallen succesvol behandeld worden met één of twee extra injecties.

Twaalf patiënten in deze studie kregen geen preventieve behandeling maar kregen Esperoct om bloedingen 'naar behoefte' te behandelen. Deze patiënten hadden gemiddeld ongeveer 32 bloedingsepisoden per jaar en Esperoct was in 97% van de gevallen succesvol in het stoppen van de bloedingen na één of twee injecties.

In een tweede studie onder 68 kinderen jonger dan twaalf jaar heeft Esperoct als preventieve behandeling het aantal bloedingsepisodes tot ongeveer twee per jaar teruggebracht.

Welke risico's houdt het gebruik van Esperoct in?

Overgevoeligheidsreacties (allergische reacties) kunnen soms (bij maximaal 1 op de 100 personen) optreden met Esperoct. Deze bestaan onder meer uit zwelling, een branderig en stekend gevoel op de plaats van injectie, koude rillingen, blozen, jeukende uitslag, hoofdpijn, netelroos, lage bloeddruk, lusteloosheid, misselijkheid en braken, rusteloosheid, een snelle hartslag, beklemmend gevoel op de borst, tintelingen en een piepende ademhaling. In sommige gevallen kunnen deze reacties ernstig worden.

Zeer zelden kunnen patiënten antilichamen ontwikkelen tegen hamstereiwitten in het geneesmiddel en allergische reacties krijgen. Esperoct mag niet worden gebruikt bij patiënten met een allergie voor hamstereiwitten.

Na behandeling met factor VIII-producten, inclusief Esperoct, kunnen sommige patiënten remmers (antilichamen) tegen factor VIII ontwikkelen, wat maakt dat het geneesmiddel niet meer werkt en ertoe leidt dat bloedingen minder goed onder controle te krijgen zijn. In dergelijke gevallen moet contact worden opgenomen met een gespecialiseerd hemofiliebehandelcentrum.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Esperoct.

Waarom is Esperoct geregistreerd in de EU?

Uit studies is gebleken dat Esperoct effectief is voor het voorkomen en behandelen van patiënten met hemofilie A. Omdat Esperoct 'gepegyleerd' is, kunnen patiënten aan wie dit geneesmiddel wordt toegediend ook minder of minder vaak worden geïnjecteerd dan het geval is met conventionele factor VIII-producten. Na langdurige behandeling kan zich echter PEG (onderdeel van de werkzame stof van Esperoct) ophopen in het lichaam, onder andere in de plexus choroideus, een structuur in de hersenen. Aangezien dit met name bij kinderen jonger dan twaalf jaar problemen zou kunnen veroorzaken, is Esperoct alleen goedgekeurd voor gebruik bij volwassenen en kinderen vanaf twaalf jaar.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Esperoct groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Esperoct te waarborgen?

Het bedrijf dat Esperoct op de markt brengt, zal een studie uitvoeren om de mogelijke effecten van PEG-ophoping in de plexus choroideus van de hersenen en in andere weefsels en organen te onderzoeken.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Esperoct, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Esperoct continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Esperoct worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Esperoct

Meer informatie over Esperoct is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esperoct.