



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## NovoThirteen (*katridekakog*)

Przegląd wiedzy na temat leku NovoThirteen i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### **Czym jest lek NovoThirteen i w jakim celu się go stosuje**

NovoThirteen to lek stosowany w zapobieganiu nadmiernemu krwawieniu u pacjentów z dziedzicznym zaburzeniem krzepliwości krwi zwanym wrodzonym niedoborem czynnika XIII, podjednostki A. Lek stosuje się w zapobieganiu krwawieniom i leczeniu wszelkich epizodów krwawienia występujących podczas leczenia zapobiegawczego.

Substancją czynną zawartą w leku NovoThirteen jest katridekakog.

### **Jak stosować lek NovoThirteen**

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno być rozpoczęte pod kontrolą lekarza doświadczonego w leczeniu rzadkich zaburzeń krzepnięcia.

NovoThirteen podawany jest we wstrzyknięciu dożylnym. W celach zapobiegawczych lek podaje się raz w miesiącu jako leczenie długoterminowe. Dawka zależy od masy ciała pacjenta, a czasem od stężenia czynnika XIII we krwi. W celu leczenia epizodów krwawienia podczas leczenia zapobiegawczego pacjentowi podaje się pojedynczą dawkę opartą na jego masie ciała, a w celu zapobieżenia krwawieniom wynikającym z drobnego zabiegu chirurgicznego – dawkę zależną od stężenia czynnika XIII.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku NovoThirteen znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

### **Jak działa lek NovoThirteen**

Czynnik XIII jest białkiem biorącym udział w procesie krzepnięcia krwi. Określony składnik czynnika XIII, zwany podjednostką A, uczestniczy w wzmacnianiu skrzepu krwi i zapobiega dalszemu krwawieniu. Pacjenci z wrodzonym niedoborem czynnika XIII, podjednostki A nie mają wystarczającej ilości podjednostki A lub nie działa ona prawidłowo, przez co chorzy są podatni na nadmierne krwawienie. Substancja czynna zawarta w leku NovoThirteen, katridekakog, ma tę samą budowę chemiczną, jak ludzkiego czynnika XIII, podjednostka A. Dostarczając czynnik XIII, podjednostkę A, lek NovoThirteen pomaga zapobiegać krwawieniom u tych pacjentów.



## **Korzyści ze stosowania leku NovoThirteen wykazane w badaniach**

Lek NovoThirteen oceniano w badaniu głównym z udziałem 41 pacjentów powyżej 6. roku życia z wrodzonym niedoborem czynnika XIII, podjednostki A, u których wcześniej stosowano leki zawierające czynnik XIII. Średnia częstość występowania epizodów krwawienia wymagających leczenia czynnikiem XIII wyniosła 0,15 na rok na pacjenta, który był profilaktycznie poddany terapii lekiem NovoThirteen. Dla porównania częstość występowania epizodów krwawienia u pacjentów leczonych w razie konieczności innym lekiem zawierającym czynnik XIII, wyniosła 2,9 epizodów na rok.

Bezpieczeństwo i skuteczność stosowania leku NovoThirteen u sześciu dzieci w wieku poniżej 6 lat potwierdziły dane pochodzące z badania długoterminowego, w trakcie którego pacjentom podawano lek NovoThirteen w celu zapobiegania krwawieniom. U dzieci leczonych produktem NovoThirteen nie zaobserwowano epizodów krwawienia.

Dalszemu badaniu poddano 30 pacjentów otrzymujących prewencyjnie lek NovoThirteen. Z sześciu epizodów krwawienia spowodowanych urazem i wymagających zastosowania leku zawierającego czynnik XIII, w pięciu podano pojedynczą dawkę leku NovoThirteen, co przyniosło pomyślne wyniki. Po podaniu pojedynczych dawek leku NovoThirteen przed przeprowadzeniem dwóch drobnych zabiegów chirurgicznych udało się utrzymać krwawienie pod kontrolą.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku NovoThirteen**

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku NovoThirteen (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 3 pacjentów) to ból głowy. Inne najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku NovoThirteen (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: leukopenia (mała liczba białych krwinek, w tym neutrofilii zwalczających infekcje), ból kończyn, ból w miejscu wstrzyknięcia oraz obecność przeciwciał wiążących się z czynnikiem XIII we krwi i małych fragmentów białek, znanych jako D-dimery fibryny.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku NovoThirteen znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku NovoThirteen w UE**

W głównym badaniu przedstawiono zadowalające wyniki w zakresie skuteczności prewencyjnego stosowania długoterminowego leku NovoThirteen w niedoborze czynnika XIII, podjednostki A, ponieważ podczas leczenia nie wystąpiły żadne poważne ani zagrażające życiu krwawienia. Również u pacjentów poddanych już leczeniu prewencyjnemu stosowanie pojedynczych dawek leku NovoThirteen było skuteczne w leczeniu epizodów krwawienia. Podczas długotrwałego stosowania leku NovoThirteen nie zaobserwowano żadnych poważnych działań niepożądanych.

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku NovoThirteen przewyższają ryzyko i może być on dopuszczony do stosowania w UE.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku NovoThirteen**

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku NovoThirteen w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku NovoThirteen są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku NovoThirteen są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące leku NovoThirteen**

Lek NovoThirteen otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 3 września 2012 r.

Dalsze informacje na temat leku NovoThirteen znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/novothirteen](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/novothirteen).

Data ostatniej aktualizacji: 08.2020.