



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Esproct (*turoktokog alfa pegol*)

Sammanfattning av Esproct och varför det är godkänt inom EU

Vad är Esproct och vad används det för?

Esproct är ett läkemedel som används för att behandla och förebygga blödning hos patienter med hemofili A, en ärftlig blödningssjukdom som beror på brist på ett koagulationsprotein som kallas faktor VIII. Esproct kan ges till vuxna och barn från 12 års ålder.

Den aktiva substansen i Esproct är turoktokog alfa pegol.

Hur används Esproct?

Esproct är receptbelagt och behandling ska inledas av en läkare med erfarenhet av att behandla hemofili.

Läkemedlet ges som en injektion i en ven. Dosen, behandlingstiden och hur ofta läkemedlet ska ges beror på om det används för att behandla eller förebygga blödning, hur allvarlig hemofilin är, omfattningen och platsen för blödningen samt patientens tillstånd och kroppsvikt. Patienterna eller deras vårdare kan själva injicera Esproct hemma efter att de fått lämplig utbildning.

För att få mer information om hur du använder Esproct, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Esproct?

Patienter med hemofili A har brist på faktor VIII, ett protein som behövs för att blodet ska kunna koagulera normalt, och de har därför lätt för att blöda. Den aktiva substansen i Esproct, turoktokog alfa pegol, verkar i kroppen på samma sätt som human faktor VIII. Den ersätter den saknade faktor VIII och hjälper på så sätt blodet att koagulera, vilket ger tillfällig kontroll över blödningssjukdomen.

I den aktiva substansen ingår polyetylenglykol, PEG. Det är ett ämne som gör att läkemedlet stannar kvar i kroppen under längre tid och därmed förlänger läkemedlets verkan.

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



Vilken nytta med Esperoct har visats i studierna?

Esperoct har visat sig vara effektivt när det gäller att förebygga och behandla blödningsepisoder hos patienter med allvarlig hemofili som fått tidigare behandling med andra faktor VIII-produkter.

I en studie fick 175 patienter i åldern 12–66 år Esperoct som förebyggande behandling var fjärde dag eller två gånger i veckan. Under behandlingen drabbades patienterna i genomsnitt av omkring fyra blödningsepisoder per år, vilket innebar att studiens mål – att understiga 8,5 episoder per år – uppnåddes. När blödningsepisoder inträffade behandlades de med framgång med en eller två ytterligare injektioner i 94 procent av fallen.

Tolv av patienterna i denna studie fick ingen förebyggande behandling, utan gavs Esperoct efter behov när blödningar uppstod. Dessa patienter hade i genomsnitt omkring 32 blödningsepisoder per år. I 97 procent av dessa fall stoppades blödningen efter en eller två Esperoctinjektioner.

I en annan studie, som omfattade 68 barn yngre än 12 år, gavs Esperoct som förebyggande behandling och minskade antalet blödningsepisoder till omkring två per år.

Vilka är riskerna med Esperoct?

Överkänslighetsreaktioner (allergiska reaktioner) med Esperoct är ovanliga men kan förekomma (hos upp till 1 av 100 personer). Dessa reaktioner kan bestå av svullnad, en brännande och stickande känsla vid injektionsstället, frossa, blodvallningar, kliande utslag, huvudvärk, nässelfeber, lågt blodtryck, letargi, illamående och kräkningar, rastlöshet, snabba hjärtslag, tryck över bröstet, kryptningar och väsende andning. I vissa fall kan reaktionerna vara allvarliga.

I mycket sällsynta fall kan patienten utveckla antikroppar mot det hamsterprotein som ingår i läkemedlet och få allergiska reaktioner. Esperoct får inte ges till patienter med allergi mot hamsterprotein.

Efter behandling med faktor VIII-läkemedel, inklusive Esperoct, finns det en risk att vissa patienter utvecklar hämmare (antikroppar) mot faktor VIII, vilket leder till att läkemedlet slutar verka med förlorad blödningskontroll som följd. I sådana fall bör en specialiserad hemofiliavdelning kontaktas.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Esperoct finns i bipacksedeln.

Varför är Esperoct godkänt i EU?

Studier har visat att Esperoct effektivt förebygger och behandlar blödning hos patienter med hemofili A. Eftersom Esperoct är "pegylerat" behöver inte patienterna ta lika många injektioner eller ta dem lika ofta jämfört med konventionella FVIII-läkemedel. En del av den aktiva substansen i Esperoct (den som kallas PEG) kan dock ansamlas i kroppen efter långvarig behandling, bland annat i en struktur i hjärnan som kallas plexus choroideus. Eftersom detta eventuellt skulle kunna orsaka problem hos i synnerhet barn under 12 års ålder, är Esperoct bara godkänt för att ges till vuxna och barn från 12 års ålder.

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att fördelarna med Esperoct är större än riskerna och att Esperoct kan godkännas för försäljning i EU.

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

Företaget som marknadsför Esperoct kommer att genomföra en studie för att undersöka de potentiella effekterna av PEG-ansamling i plexus choroideus i hjärnan och i andra organ.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Esperoct har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Esperoct kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Esperoct utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Esperoct

Mer information om Esperoct finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esperoct.