

VI.2. Streszczenie planu zarządzania ryzykiem

VI.2.1. Omówienie rozpowszechnienia choroby

Pharmavate jest stosowany w zapobieganiu (profilaktyce) i leczeniu krwawień u pacjentów cierpiących na hemofilię A. Hemofilia A jest skazą krwotoczną, której objawy wynikają z niedoboru VIII czynnika krzepnięcia, który jest białkiem biorącym udział w procesie krzepnięcia krwi. Pacjenci z hemofilią A są bardziej podatni na krwawienia, które trwają dłużej niż u zdrowych ludzi. Hemofilia A jest spowodowana mutacją genu na chromosomie X. Mężczyźni są zazwyczaj bardziej podatni na wystąpienie choroby niż kobiety, ponieważ posiadają tylko jeden chromosom X. Hemofilia może wystąpić we wszystkich rasach i grupach etnicznych. W około przypadków hemofilia jest dziedziczna, a w pozostałych przypadkach choroba jest wynikiem mutacji *de novo*. Szacuje się, że na całym świecie co 10.000 narodzin urodzi się jedno dziecko z hemofilią A.

VI.2.2. Podsumowanie korzyści wynikających z leczenia

Pharmavate zawiera substancję czynną: ludzki czynnik krzepnięcia VIII, który uzupełnia brak ludzkiego czynnika VIII. Skuteczność leku w zapobieganiu i leczeniu krwawień potwierdzono podczas 6 badań, w których łącznie wzięło udział 114 pacjentów z hemofilią A. Podczas badań, odnotowano 2917 epizodów krwawienia. Skuteczność Pharmavate w leczeniu krwawień została oceniona, jako "doskonała" lub "dobra" średnio w 94,8% przypadkach (zakres od 84,3 % do 100 %). Podczas badania skuteczności Pharmavate, w którym udział wzięło 15 dzieci (w wieku 6 lat lub młodszych), nie zaobserwowano różnic między skutecznością leku u dorosłych i dzieci.

VI. 2.3. Brakujące informacje dotyczące korzyści z leczeniem

Nie badano bezpieczeństwa stosowania Pharmavate u kobiet w ciąży i podczas karmienia piersią. Dane kliniczne dotyczące stosowania Pharmavate w podeszłym wieku oraz u pacjentów z upośledzeniem funkcji nerek lub wątroby są ograniczone. Po wprowadzeniu leku do obrotu, nie odnotowano jednak w tych grupach pacjentów sygnałów świadczących o zagrożeniu dla bezpieczeństwa stosowania produktu.

VI. 2.4. Podsumowanie informacji dotyczących bezpieczeństwa stosowania

Istotne zidentyfikowane ryzyka

| Ryzyko | Dostępne informacje | Możliwość zapobiegania |
|--|--|---|
| Inhibitory czynnika (przeciwciała przeciw czynnikowi) VIII u wcześniej nieleczonych pacjentów. | Powstawanie inhibitorów czynnika VIII jest najważniejszym powikłaniem w leczeniu hemofilii. Inhibitory są przeciwciałami wobec czynnika VIII produkowanymi przez układ odpornościowy organizmu, które mogą powodować zatrzymanie działania leku. Skutkiem tego może być brak możliwości opanowania krwawienia. W czasie leczenia z obecnie dostępnymi produktami zawierającymi o czynnik VIII, inhibitory występują u 30% pacjentów z ciężką postacią hemofilii A, najczęściej u małych dzieci, po mniej niż 20 dniach od ekspozycji (podania produktu). Ze względu na to, że inhibitory mogą zmniejszyć lub znieść | Pacjenci powinni być poddani uważnej obserwacji klinicznej i badaniom krwi w celu monitorowania powstawania inhibitorów czynnika VIII. Pacjenci powinni być starannie monitorowani przez lekarza podczas zamiany jednego produktu zawierającego czynnik VIII na inny. W ciągu pierwszych 20 dni leczenia należy unikać wysokiego stężenia czynnika krzepnięcia; wszyscy pacjenci leczeni czynnikiem krzepnięcia VIII powinni być starannie monitorowani pod kątem możliwości powstawania inhibitorów poprzez obserwacje |

| | | |
|---|---|--|
| | działanie podawanego czynnika krzepnięcia, w leczeniu epizodów krwawienia konieczne może być podawanie innych czynników stymulujących powstawanie skrzepu i hamujących krwawienie ("czynniki pomostowe"). | kliniczne i badania laboratoryjne. Profilaktyczne leczenie należy rozpocząć w młodym wieku; po okresach intensywnego leczenia należy rozpocząć stałą profilaktykę. |
| Reakcje alergiczne (nadwrażliwość) w tym ciężkiej, nagłe reakcje alergiczne (anafilaktyczne). | Jak w przypadku każdego produktu białkowego podanego dożylnie, wystąpić mogą reakcje nadwrażliwości typu alergicznego. W niektórych przypadkach, reakcje alergiczne mogą być poważne. Po leczeniu pacjenci zazwyczaj w pełni powracają do zdrowia. Do czynników ryzyka należą: wystąpienie w przeszłości reakcji organizmu na czynnik VIII stwierdzona nadwrażliwość na którykolwiek ze składników produktu Pharmavate. | Jeśli wystąpią objawy nadwrażliwości, należy zalecić pacjentom natychmiastowe zaprzestanie stosowania produktu i skontaktowanie się z lekarzem. U pacjentów, u których wystąpienie reakcji nadwrażliwości lub reakcji alergicznych jest bardzo prawdopodobne należy wcześniej podać kortykosteroidy i/lub leki przeciwhistaminowe. |

Ważne potencjalne ryzyko

| Ryzyko | Dostępne informacje |
|-------------------------------|--|
| Bezpieczeństwo wirusologiczne | <p>Przy produkcji leków wytwarzanych z ludzkiej krwi lub osocza, podejmowane są działania w celu zapobiegania przenoszeniu zakażeń na pacjentów. Należy do nich staranny dobór dawców krwi i osocza wykluczający osoby potencjalnie zakażone, a także badanie poszczególnych porcji i puli osocza na obecność wirusów lub innych czynników zakaźnych. Producenci leków podejmują również działania mające na celu inaktywowanie lub usunięcie wirusów podczas kolejnych etapów przetwarzania krwi lub osocza. Mimo tych działań, nie można w pełni wykluczyć możliwości przeniesienia wirusa w lekach przygotowanych z ludzkiej krwi lub osocza. Ryzyko to, dotyczy również nieznanymi lub nowo pojawiającymi się wirusów lub innych rodzajów zakażeń.</p> <p>Podejmowane środki bezpieczeństwa są uważane za skuteczne wobec wirusów otoczkowych, takich jak ludzki wirus upośledzenia odporności (HIV), wirus zapalenia wątroby typu B (HBV), wirus zapalenia wątroby typu C (HCV), oraz bezotoczkowy wirus zapalenia wątroby typu A (HAV). Podejmowane działania mogą mieć ograniczoną skuteczność wobec wirusów bezotoczkowych, takich jak parwowirus B19.</p> <p>Zakażenie parwowirusem B19 może być groźne dla kobiet w ciąży (zakażenie dziecka) i dla osób z osłabionym układem odpornościowym lub z niektórymi typami niedokrwistości (np. niedokrwistością sierpowatą lub nieprawidłowym rozpadem krwinek czerwonych).</p> |

Brakujące informacje

| Ryzyko | Dostępne informacje |
|---|--|
| Bezpieczeństwo stosowania u osób w podeszłym wieku | Bezpieczeństwo stosowania Pharmavate u osób w podeszłym wieku nie zostało potwierdzone w kontrolowanych badaniach klinicznych. |
| Bezpieczeństwo stosowania u kobiet w ciąży lub karmiących piersią | Bezpieczeństwo Pharmavate u kobiet ciężarnych lub karmiących piersią nie zostało potwierdzone w kontrolowanych badaniach klinicznych. Pharmavate powinien być stosowany w czasie ciąży i laktacji tylko w |

| | |
|---|---|
| | przypadku oczywistych wskazań. |
| Bezpieczeństwo stosowania u osób z upośledzoną funkcją nerek lub wątroby (zaburzenia czynności nerek lub wątroby) | Bezpieczeństwo stosowanie Pharmavate u osób z upośledzoną czynnością nerek lub wątroby nie zostało potwierdzone w kontrolowanych badaniach klinicznych. |

VI. 2.5. Podsumowanie dodatkowych aktywności minimalizujących ryzyko w odniesieniu do określonych zagrożeń

Wszystkie leki mają charakterystykę produktu leczniczego (ChPL), która jest dostępna dla lekarzy, farmaceutów i innych pracowników służby zdrowia. Zwiera ona szczegółowe informacje dotyczące stosowania produktu leczniczego, a także opisuje zagrożenia i zalecenia dotyczące minimalizacji ryzyka ich wystąpienia. Informacje dla pacjentów są dostępne w ulotce dołączonej do opakowania napisanej w języku potocznym. Zalecenia wymienione w tych dokumentach są znane, jako "środki mające na celu zminimalizowanie ryzyka".

Charakterystyka produktu leczniczego i ulotka dołączona do opakowania są częścią informacji o produkcie. Informacje o produkcie Ocanate można znaleźć na stronie internetowej państwowego urzędu ochrony zdrowia, który wydał zgodę na wprowadzenie Pharmavate do obrotu (URPL). Ten lek nie ma dodatkowych środków minimalizujących ryzyko.

VI. 2.6. Przewidywany plan rozwoju po wprowadzeniu produktu leczniczego do obrotu

Po uzyskaniu pozwolenia na dopuszczenie produktu leczniczego Pharmavate do obrotu Pharma Innovations Sp. z o.o. zamierza ściśle monitorować wszystkie dostępne informacje na temat bezpieczeństwa stosowania VIII czynnika krzepnięcia przy użyciu rutynowych narzędzi minimalizacji ryzyka.

VI. 2.7. Podsumowanie zmian wprowadzonych w planie zarządzania ryzykiem w porządku chronologicznym

Brak zmian.