

Rezumatul planului de management al riscului pentru OCTANINE F 500 UI pulbere și solvent pentru soluție injectabilă OCTANINE F 1000 UI pulbere și solvent pentru soluție injectabilă factor IX de coagulare uman

Acesta este rezumatul planului de management al riscului (PMR) pentru OCTANINE F. PMR detaliază riscurile importante pentru OCTANINE F, cum pot fi reduse la minimum aceste riscuri și cum vor fi obținute mai multe informații despre riscurile și incertitudinile (informații lipsă) pentru OCTANINE F.

Rezumatul caracteristicilor produsului (RCP) OCTANINE F și prospectul acestuia oferă profesioniștilor din domeniul sănătății și pacienților informații esențiale cu privire la modul în care trebuie utilizat OCTANINE F.

I. Medicamentul și pentru ce se utilizează

OCTANINE F este autorizat pentru tratamentul și profilaxia sângerărilor la pacienții cu hemofilie B (deficit congenital de factor IX) (a se vedea RCP pentru indicația completă). Conține factor IX de coagulare uman ca substanță activă și este administrat intravenos.

II. Riscuri asociate medicamentului și activități pentru reducerea la minimum sau caracterizarea suplimentară a riscurilor

Riscurile importante ale OCTANINE F, împreună cu măsurile de reducere la minimum a acestor riscuri și studiile propuse pentru a afla cât mai multe informații despre riscurile OCTANINE F sunt prezentate mai jos.

Măsurile de reducere la minimum a riscurilor identificate pentru medicamente pot fi:

- Informații specifice, cum ar fi atenționări, precauții și recomandări privind utilizarea corectă, din prospect și RCP adresate pacienților și profesioniștilor din domeniul sănătății;
- Recomandări importante privind ambalajul medicamentului;
- Dimensiunea autorizată a ambalajului – cantitatea de medicament dintr-un ambalaj este aleasă astfel încât să se asigure utilizarea corectă a medicamentului;
- Statutul legal al medicamentului – modul în care un medicament este eliberat către pacient (de exemplu, cu sau fără prescripție medicală) poate contribui la reducerea la minimum a riscurilor asociate acestuia.

Împreună, aceste măsuri constituie măsuri *de rutină de reducere la minimum a riscurilor*.

În plus față de aceste măsuri, informațiile despre reacțiile adverse sunt colectate continuu și analizate în mod regulat, inclusiv evaluarea rapoartelor periodice referitoare la siguranța (RPAS), astfel încât să poată fi luate măsuri imediate, după caz. Aceste măsuri constituie *activități de farmacovigilență de rutină*.

II.A Lista riscurilor importante și a informațiilor lipsă

Riscurile importante ale OCTANINE F sunt riscuri care necesită activități speciale de gestionare a riscurilor pentru a investiga în continuare sau pentru a reduce la minimum riscul, astfel încât medicamentul să poată fi administrat în condiții de siguranță. Riscurile importante pot fi considerate identificate sau potențiale. Riscurile identificate sunt probleme de siguranță pentru

care există suficiente dovezi ale unei legături cu utilizarea OCTANINE F. Riscurile potențiale sunt probleme de siguranță pentru care este posibilă asocierea cu utilizarea acestui medicament pe baza datelor disponibile, dar această asociere nu a fost încă stabilită și necesită o evaluare suplimentară. Informațiile lipsă se referă la informații privind siguranța medicamentului care lipsesc în prezent și care trebuie colectate (de exemplu, cu privire la utilizarea pe termen lung a medicamentului);

Lista riscurilor importante și a informațiilor lipsă	
Riscuri importante identificate	- Dezvoltarea inhibitorilor (anticorpi neutralizanți față de factorul IX) - Reacții de hipersensibilitate, inclusiv reacții anafilactice - Evenimente tromboembolice
Riscuri importante potențiale	- Transmiterea suspectată ale unui agent infecțios - Trombocitopenie indusă de heparină - Sindrom nefrotic după tratamentul de inducere a toleranței imune
Informații lipsă	- Niciuna

II.B Rezumatul riscurilor importante

Risc important identificat: Dezvoltarea inhibitorilor (anticorpi neutralizanți față de factorul IX)	
Dovezi pentru corelarea riscului cu medicamentul	Formarea inhibitorilor împotriva factorului IX este cea mai importantă complicație în tratamentul hemofiliei. Inhibitorii sunt anticorpi împotriva factorului IX produși de sistemul imunitar al organismului și care pot determina încetarea acțiunii medicamentului, ducând la pierderea controlului sângerării și la episoade de sângerare masivă potențial letale.
Factori de risc și grupuri de risc	Pacienții netratați anterior, dar și perioadele de tratament intensiv (de exemplu, sângerări severe sau intervenții chirurgicale) și trecerea de la un medicament cu factor IX la altul, sunt considerați factori de risc non-genetici. Principalii factori de risc genetici sunt antecedentele familiale de inhibitori și anumite tipuri de mutații ale genei factorului IX.
Măsuri de reducere la minimum a riscurilor	<u>Măsuri de rutină de reducere la minimum a riscurilor</u> RCP pct. 4.4 și 4.8 Prospect pct. 2, 3 și 4

Risc important identificat: Reacții de hipersensibilitate, inclusiv reacții anafilactice	
Dovezi pentru corelarea riscului cu medicamentul	Ca în cazul oricărui medicament care conține proteine administrat intravenos, pot apărea reacții de hipersensibilitate de tip alergic. În unele cazuri, reacțiile alergice pot fi grave. De obicei, pacienții se recuperează complet după tratament.
Factori de risc și grupuri de risc	Grupurile de risc sunt pacienții cu antecedente de reacții la medicamente derivate din plasmă sau cu hipersensibilitate cunoscută la oricare dintre

	constituenții medicamentului. Pacienții cu inhibitori ai factorului IX prezintă un risc mai mare de a dezvolta reacții de tip alergic sau de hipersensibilitate.
Măsuri de reducere la minimum a riscurilor	<u>Măsuri de rutină de reducere la minimum a riscurilor</u> RCP pct. 4.3, 4.4 și 4.8 Prospect pct. 2 și 4

Risc important identificat: Evenimente tromboembolice	
Dovezi pentru corelarea riscului cu medicamentul	Concentratele de proteine cu factor IX pot provoca obstrucția vaselor de sânge cu un cheag. Acest risc este mai mare în cazul medicamentelor cu puritate scăzută. Cheagurile de sânge pot afecta arterele sau venele. În cazul venelor, acest lucru poate duce la o umflare dureroasă a picioarelor (tromboză venoasă profundă) și, extrem de rar, pot apărea cheaguri în plămâni, care pot pune viața în pericol sau pot fi letale, provocând embolie pulmonară. Cheagurile din artere pot duce la un atac de cord sau un accident vascular cerebral ischemic - în special la pacienții care au deja probleme cu arterele..
Factori de risc și grupuri de risc	Grupurile de risc sunt pacienții care prezintă semne de fibrinoliză (cheaguri de sânge descompuse), au coagulare intravasculară diseminată (coagularea pe scară largă a sângelui în vasele de sânge), sunt diagnosticați cu boli hepatice, au factori de risc cardiovascular documentați, au fost supuși recent unei intervenții chirurgicale, prezintă un risc crescut de formare a cheagurilor sau de coagulare intravasculară diseminată. Printre posibili factori de risc pentru cheagurile de sânge asociate utilizării cateterului venos central (CVC) se numără, de exemplu, tulburările de coagulare a sângelui moștenite, cancerul sau tratamentul activ pentru cancer, cheagurile de sânge anterioare în vene sau artere, vârsta (vârstnici și copii foarte mici) și durata utilizării CVC.
Măsuri de reducere la minimum a riscurilor	<u>Măsuri de rutină de reducere la minimum a riscurilor</u> RCP pct. 4.4 și 4.8 Prospect pct. 2 și 4

Risc important potențial: Transmiterea suspectată ale unui agent infecțios	
Dovezi pentru corelarea riscului cu medicamentul	Atunci când medicamentele sunt fabricate din sânge sau plasmă umană, se iau anumite măsuri pentru a preveni transmiterea infecțiilor la pacienți. Acestea includ selecția atentă a donatorilor de sânge și plasmă pentru a se asigura că cei cu risc de a fi purtători de infecții sunt excluși și testarea fiecărei donări și a loturilor de plasmă pentru semne de virus/infecții. Producătorii acestor produse includ, de asemenea, etape în procesarea sângelui sau a plasmei care pot

	inactiva sau elimina virusurile. În ciuda acestor măsuri, atunci când se administrează medicamente preparate din sânge sau plasmă umană, posibilitatea transmiterii infecției nu poate fi exclusă total. Acest lucru este valabil și pentru orice virusuri necunoscute sau emergente sau alte tipuri de infecții.
Factori de risc și grupuri de risc	Pacienții cu un sistem imunitar deprimat sunt considerați a prezenta un risc deosebit de a dezvolta boli infecțioase induse de orice virus. Alte grupuri de risc pentru infecțiile cu parvovirus B19 sunt femeile gravide (fătul până la 20 săptămâni de gestație) și pacienții cu hemoglobinopatii.
Măsuri de reducere la minimum a riscurilor	<u>Măsuri de rutină de reducere la minimum a riscurilor</u> RCP pct. 4.4 Prospect pct. 2

Risc important potențial: Trombocitopenie indusă de heparină	
Dovezi pentru corelarea riscului cu medicamentul	Heparina conținută în OCTANINE F poate provoca o scădere bruscă a numărului de trombocite din sânge la mai puțin de 50% din numărul inițial. Aceasta este o reacție alergică numită „trombocitopenie tip II, indusă de heparină”. În cazuri rare, la pacienți care nu au fost anterior hipersensibili la heparină, această scădere a numărului de trombocite poate apărea la 6-14 zile de la începerea tratamentului. La pacienții cu hipersensibilitate anterioară la heparină, această modificare se poate dezvolta în câteva ore de la începerea tratamentului. Această formă severă de reducere a numărului de trombocite din sânge poate fi însoțită de sau poate duce la: • cheaguri de sânge în artere și vene • obstrucția unui vas de sânge de către un cheag din altă zonă • o tulburare severă de coagulare a sângelui numită coagulopatie consumptivă • gangrenă cutanată în zona injectării • sângerări asemănătoare mușcăturilor de purici • vânătăi cu pete purpurii • scaun cu aspect de smoală.
Factori de risc și grupuri de risc	Pacienți cu trombocitopenie indusă de heparină (TIH) de tip II.
Măsuri de reducere la minimum a riscurilor	<u>Măsuri de rutină de reducere la minimum a riscurilor</u> RCP pct. 4.3 și 4.8 Prospect pct. 2 și 4

Risc important potențial: Sindrom nefrotic după tratamentul de inducere a toleranței imune	
Dovezi pentru corelarea riscului cu medicamentul	Sindromul nefrotic este o afecțiune în care „filtrele” din rinichi devin „permeabile” și cantități mari de proteine se trec din sânge în urină.

	Sindromul nefrotic a fost observat la pacienții cu hemofilie B cu anticorpi împotriva factorului IX (inhibitori) și antecedente de reacții alergice la medicamentele care conțin factorului IX de coagulare, care urmează un tratament de inducere a toleranței imune (ITI) (când medicamentul este administrat în mod regulat pe o perioadă de timp pentru a antrena organismul să recunoască tratamentul fără a reacționa la acesta).
Factori de risc și grupuri de risc	Pacienții cu hemofilie B, în special cei cu antecedente de reacții alergice la concentratul de factor IX în timpul ITI, prezintă risc de a dezvolta sindrom nefrotic.
Măsuri de reducere la minimum a riscurilor	<u>Măsuri de rutină de reducere la minimum a riscurilor</u> RCP pct. 4.8 Prospect pct. 4

II.C Planul de dezvoltare post-autorizare

II.C.1 Studii care sunt condiții ale autorizației de punere pe piață

Nu există studii care să fie condiții ale autorizației de punere pe piață sau obligații specifice pentru OCTANINE F.

II.C.2 Alte studii din planul de dezvoltare post-autorizare

Nu sunt necesare studii pentru OCTANINE F.