



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/319898/2023
EMA/H/C/004178

Refixia (*nonacog beta pegol*)

Información general sobre Refixia y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Refixia y para qué se utiliza?

Refixia es un medicamento que se utiliza para tratar y prevenir las hemorragias en pacientes con hemofilia B, un trastorno hemorrágico hereditario causado por deficiencia de factor IX, una proteína necesaria para producir coágulos sanguíneos a fin de detener la hemorragia.

Refixia contiene el principio activo nonacog beta pegol.

¿Cómo se usa Refixia?

Refixia solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá estar bajo la supervisión de un médico con experiencia en el tratamiento de la hemofilia.

Refixia se administra en forma de inyección intravenosa. La dosis y la frecuencia del tratamiento dependerán de si Refixia se utiliza para tratar o para prevenir la hemorragia, o para reducirla durante una operación quirúrgica, así como de la intensidad y la localización de la hemorragia y del peso corporal del paciente.

Los pacientes o sus cuidadores pueden administrar Refixia ellos mismos en el domicilio, una vez que se les haya enseñado a hacerlo correctamente. Para más información, consulte el prospecto.

Si desea más información sobre el uso de Refixia, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Refixia?

Los pacientes con hemofilia B carecen del factor IX, una proteína necesaria para la coagulación normal de la sangre, y en consecuencia, sangran fácilmente. El principio activo de Refixia, el nonacog beta pegol, actúa en el organismo de la misma forma que el factor IX humano. Sustituye la deficiencia de factor IX, lo que ayuda a que la sangre coagule y se controle temporalmente la hemorragia

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



¿Qué beneficios ha demostrado tener Refixia en los estudios realizados?

Refixia ha demostrado ser eficaz tanto para tratar los episodios hemorrágicos como para mantener bajo el número de episodios.

En un estudio en el que participaron 74 adultos y adolescentes a partir de 13 años, 29 pacientes a los que se administró Refixia en tanto que tratamiento preventivo semanal experimentaron alrededor de 1 episodio hemorrágico al año y 15 pacientes a los que se administró Refixia para el tratamiento de las hemorragias «a demanda» experimentaron alrededor de 16 episodios hemorrágicos al año. Además, cuando se produjeron hemorragias, Refixia se calificó de excelente o bueno en el tratamiento de alrededor del 92 % de los episodios hemorrágicos. El 87 % de los episodios hemorrágicos se resolvieron con una inyección de Refixia.

En el segundo estudio, realizado en 25 niños menores de 13 años tratados previamente con otros productos con factor IX, todos los pacientes recibieron Refixia como tratamiento preventivo semanal. Al cabo de un año de tratamiento, los pacientes presentaron alrededor de un episodio hemorrágico al año. Refixia fue calificado como «excelente» o «bueno» para el tratamiento de alrededor del 93 % de los episodios hemorrágicos. Alrededor del 86 % de los episodios hemorrágicos se resolvieron con una inyección. El estudio también aportó datos sobre el uso a largo plazo de Refixia. Durante un período de hasta 8 años de tratamiento con Refixia, la tasa media anual fue de 0.9 hemorragias al año. Refixia fue calificado como «excelente» o «bueno» para el tratamiento de alrededor del 89 % de los episodios hemorrágicos. Alrededor del 82 % de los episodios hemorrágicos se resolvieron con una inyección de Refixia.

En un tercer estudio en el que participaron 50 niños menores de 7 años que anteriormente no habían sido tratados con otros productos con factor IX, Refixia se administró como tratamiento preventivo semanal. Durante un período de hasta 6 años de tratamiento con Refixia, la tasa media anual de hemorragia fue de 0.7 hemorragias al año. Refixia fue calificado como «excelente» o «bueno» para el tratamiento de alrededor del 96 % de los episodios hemorrágicos. Alrededor del 91 % de los episodios hemorrágicos se resolvieron con una inyección de Refixia.

Los resultados de ambos estudios en niños también pusieron de relieve que, tras unos 6 años de tratamiento con Refixia, los pacientes alcanzaron niveles estables del factor IX que se situaban en el intervalo esperado para los pacientes con hemofilia leve.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Refixia?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Refixia se puede consultar en el prospecto.

Las reacciones de hipersensibilidad (alérgicas) son poco frecuentes con Refixia (pueden afectar hasta a 1 de cada 100 pacientes) y pueden incluir: hinchazón, ardor y escozor en el lugar de la inyección, escalofríos, rubor, sarpullido con picor, dolor de cabeza, urticaria, hipotensión arterial, letargo, náuseas y vómitos, inquietud, latidos cardíacos rápidos, opresión torácica y sibilancias. En algunos casos estas reacciones pueden llegar a ser graves.

Algunos pacientes que toman medicamentos con factor IX pueden desarrollar inhibidores (anticuerpos) frente al factor IX, lo que hace que el medicamento deje de actuar y da lugar a una pérdida del control de la hemorragia. Los medicamentos con factor IX también son potencialmente causa de problemas debido a la formación de coágulos sanguíneos en los vasos sanguíneos.

Refixia no debe usarse en pacientes alérgicos al nonacog beta pegol o a cualquiera de los componentes del medicamento, ni en pacientes con alergia conocida a las proteínas de hámster.

¿Por qué se ha autorizado Refixia?

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Refixia eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Los estudios demuestran que Refixia es eficaz en la prevención y el tratamiento de los episodios hemorrágicos en pacientes con hemofilia B y su seguridad es comparable a la de otros productos con factor IX. Sin embargo, después del tratamiento a largo plazo, parte del principio activo de Refixia (denominado PEG) puede acumularse en el organismo, incluso en una estructura del cerebro llamada plexo coroideo.

El uso prolongado de Refixia en niños menores de 13 años dio lugar a una baja tasa anual de hemorragias. Además, se consideró que Refixia ofrecía un efecto protector contra los episodios hemorrágicos al generar niveles estables de factor IX en niños menores de 13 años a los que se administró el medicamento para prevenir la hemorragia. Refixia no estaba autorizada anteriormente para niños menores de 12 años debido a la preocupación suscitada por la acumulación de PEG en niños pequeños. Los datos exhaustivos de los estudios, incluidos los datos sobre el uso a largo plazo, no han mostrado ninguna relación con los efectos adversos sobre el sistema nervioso debidos a la acumulación de PEG.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Refixia?

La compañía que comercializa Refixia llevará a cabo un estudio para investigar los posibles efectos de la acumulación de PEG en el plexo coroideo del cerebro y en otros órganos.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Refixia se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Otra información sobre Refixia

Refixia recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 2 de junio de 2017.

Puede encontrar información adicional sobre Refixia en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/refixia

Fecha de la última actualización de este resumen: 07-2023.