



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/23299/2023
EMA/H/C/004827

Hemgenix (*etranacogene dezaparvovec*)

Общ преглед на Hemgenix и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Hemgenix и за какво се използва?

Hemgenix е лекарство, което се използва за лечение на възрастни с тежка и умерено тежка хемофилия В — наследствено нарушение на кръвосъсирването, причинено от липсата на фактор IX (протеин, необходим за производството на кръвни съсиреци, за да спре кръвенето). Използва се при възрастни, които не са развили инхибитори (протеини, произвеждани от естествените защитни сили на организма) срещу фактор IX.

Хемофилия В се счита за рядко заболяване и Hemgenix е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 21 март 2018 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix съдържа активното вещество етранакоген дезапарвовек (*etranacogene dezaparvovec*) и е вид лекарствен продукт за модерна терапия, наречен „продукт за генна терапия“. Този вид лекарство действа чрез въвеждане на гени в организма.

Как се използва Hemgenix?

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание. Лечението трябва да бъде започнато под наблюдението на лекар с опит в лечението на хемофилия и/или нарушения на кръвосъсирването в медицинско заведение, оборудвано за бързо лечение на реакции, свързани с инфузията.

Hemgenix се прилага еднократно под формата на еднократна инфузия (вливане) във вена в продължение на един до два часа. Дозата зависи от телесното тегло на пациента.

Преди прилагане на инфузията пациентът преминава няколко изследвания, включително тестове за проверка на здравословното състояние на черния дроб и наличието на инхибитори на фактор IX. Тъй като Hemgenix проявява своето действие след няколко седмици, пациентите ще бъдат наблюдавани внимателно в продължение на най-малко 3 месеца след инфузията, за да се реши дали се нуждаят от допълнително лечение със заместителна терапия с фактор IX.

За повече информация относно употребата на Hemgenix вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

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



Как действа Hemgenix?

Пациентите с хемофилия В имат мутации (промени) в ген, от който организъмът се нуждае, за да произвежда протеина фактор IX, отговорен за съсирването на кръвта, което води до неговата частична или пълна неактивност.

Активното вещество в Hemgenix, етранакоген дезапарвовек, се базира на вирус, който съдържа копия на гена, отговорен за производството на фактор IX. Когато се приложи на пациента, вирусът доставя гена за фактор IX в чернодробните клетки, което им позволява да образуват липсващия фактор IX и по този начин да ограничават епизодите на кървене.

Използваният в този лекарствен продукт вирус (аденоасоцииран вирус) не причинява заболявания при хора.

Какви ползи от Hemgenix са установени в проучванията?

В проучване при 54 възрастни пациенти от мъжки пол с тежка или умерено тежка хемофилия В е установено, че Hemgenix е по-ефективен за намаляване на епизодите на кървене, отколкото заместителна терапия с фактор IX. Проучването сравнява броя на епизодите на кървене, които пациентите са имали със заместителна терапия с фактор IX по време на 6-месечен период преди приема на Hemgenix, с броя, който се наблюдава за 1-годишен период след постигане на стабилни нива на фактор IX при Hemgenix. Данните от проучването показват, че Hemgenix намалява годишната честота на кървене от 4,2 на 1,5 кръвоизлива годишно. Проучването установява също, че Hemgenix е ефективен за увеличаване на нивата на фактор IX, като 96% от пациентите (52 от 54) повече не се нуждаят от заместителна терапия с фактор IX за период до 2 години след инфузията.

Какви са рисковете, свързани с Hemgenix?

Най-честите нежелани реакции при Hemgenix (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са главоболие, повишени нива на определени чернодробни ензими и грипоподобни симптоми.

За пълния списък на нежеланите реакции при Hemgenix вижте листовката.

Hemgenix не трябва да се прилага при хора, които са свръхчувствителни (алергични) към някоя от съставките му, които имат активна или хронична (продължителна) инфекция, която не се контролира с лекарства, или които имат напреднала чернодробна фиброза или цироза (увреждане на черния дроб).

Защо Hemgenix е разрешен за употреба в ЕС?

Към момента на одобрението пациентите с тежка хемофилия В се нуждаят от пожизнено лечение със заместителна терапия с фактор IX. Hemgenix, прилаган като еднократна инфузия, е ефективен за предотвратяване на кървенето за период от най-малко 2 години, като по този начин дава възможност на пациентите да спрат лечението със заместителна терапия с фактор IX, което намалява тежестта, причинена от лечението на заболяването. Съществуват известни неясноти относно продължителността на ползите от Hemgenix, като се има предвид, че основното проучване оценява повлияването при малък брой пациенти за период до 2 години. Въпреки че данните за дългосрочната безопасност са ограничени, профилът на безопасност се счита за приемлив.

Hemgenix е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“. Това означава, че Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Hemgenix са по-големи

от рисковете, но фирмата ще трябва да предостави допълнителни доказателства след разрешаването за употреба.

Разрешението под условие се издава въз основа на по-малко изчерпателни данни от обичайно изискваните. Разрешение под условие се издава за лекарства, които отговарят на неудовлетворена медицинска нужда от лечение на сериозни заболявания, и когато ползите от по-своевременното им предлагане превишават рисковете, свързани с употребата на лекарствата, в периода, докато се очакват допълнителните данни. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация, докато данните станат изчерпателни, и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Hemgenix?

Тъй като Hemgenix е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“, фирмата, която предлага това лекарство, ще предостави допълнителни данни от текущи проучвания за дългосрочната безопасност и ефективност на лекарството, включително за продължителността на повлияването при пациенти с тежка до умерено тежка форма на хемофилия В. Фирмата ще предостави също данни от регистър на пациентите, лекувани с Hemgenix, за да проучи неговата дългосрочна безопасност и ефективност.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Hemgenix?

Фирмата, която предлага Hemgenix на пазара, ще предостави обучителни материали за пациентите или техните болногледачи и за медицинските специалисти с информация за ползите, рисковете и неяснотите относно дългосрочните ефекти и безопасността на лекарството. Пациентите трябва да получат също карта на пациента, за да информират медицинските специалисти, че са лекувани с Hemgenix.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Hemgenix, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Hemgenix непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Hemgenix, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Hemgenix:

Допълнителна информация за Hemgenix можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix