



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

20. května 2022
EMA/267926/2022
EMA/H/C/005547

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku HemAryo (eptakog alfa (aktivovaný))

Společnost UGA Biopharma stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku HemAryo určeného k léčbě krvácivých příhod a k prevenci krvácení po chirurgickém zákroku u pacientů s poruchami srážlivosti krve.

Společnost svou žádost stáhla dne 6. května 2022.

Co je přípravek HemAryo a k čemu měl být používán?

Přípravek HemAryo byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě krvácivých příhod a k prevenci krvácení po chirurgickém nebo invazivním zákroku u pacientů s těmito onemocněními:

- vrozená hemofilie (porucha krvácivosti, která se vyskytuje již od narození) u pacientů, u nichž se vytvořily „inhibitory“ (protilátky) faktoru VIII nebo IX (bílkovin, které se podílejí na srážení krve) nebo u nichž se předpokládá, že se tyto inhibitory vytvoří,
- získaná hemofilie (krvácivé onemocnění způsobené vytvořením inhibitorů faktoru VIII),
- vrozený nedostatek faktoru VII,
- Glanzmannova trombastenie (vzácná porucha krvácivosti), kterou nelze léčit transfuzí krevních destiček (složek, které napomáhají srážení krve).

Přípravek HemAryo obsahuje léčivou látku eptakog alfa a měl být dostupný ve formě prášku a rozpouštědla pro přípravu injekčního roztoku k podání do žíly.

Přípravek HemAryo byl vyvinut jako „biologicky podobný“ léčivý přípravek. Znamená to, že přípravek HemAryo měl být velmi podobný jinému biologickému léčivému přípravku („referenčnímu léčivému přípravku“), který je již v EU registrován. Referenčním léčivým přípravkem přípravku HemAryo je přípravek NovoSeven. Více informací o biologicky podobných léčivých přípravcích naleznete [zde](#).

Jak přípravek HemAryo působí?

Léčivá látka v přípravku HemAryo, eptakog alfa, je téměř shodná s lidským proteinem zvaným faktor VII. Eptakog alfa působí stejně jako faktor VII. Faktor VII se v lidském těle podílí na srážení krve.

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



Aktivuje jiný faktor zvaný faktor X, který iniciuje proces srážení krve. Aktivací faktoru X umožňuje eptakog alfa dočasnou kontrolu poruchy krvácivosti.

Vzhledem k tomu, že faktor VII působí na faktor X přímo, nezávisle na faktorech VIII a IX, lze eptakog alfa používat u pacientů s hemofilií, u kterých se vytvořily inhibitory faktoru VIII nebo IX, a u pacientů s nedostatkem faktoru VII k nahrazení tohoto chybějícího faktoru.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky laboratorních studií, které porovnávaly přípravek HemAryo s referenčním léčivým přípravkem a zkoumaly, zda je léčivá látka v přípravku HemAryo z hlediska struktury, čistoty a biologické aktivity velmi podobná léčivé látce v přípravku NovoSeven.

Předložila také výsledky dvou klinických studií, které prokazují, že přípravek HemAryo vytváří v těle podobné hladiny léčivé látky jako referenční léčivý přípravek a že jeho účinnost může být srovnatelná s účinností přípravku NovoSeven.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila výchozí dokumentaci předloženou společností a vypracovala otázky pro společnost. V době stažení žádosti nebyly tyto otázky společností zodpovězeny.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek HemAryo nemůže být registrován k léčbě krvácivých příhod a k prevenci krvácení po chirurgickém zákroku u pacientů s poruchami srážlivosti krve.

Agentura měla pochybnosti ohledně způsobu výroby tohoto přípravku, což vedlo k nejistotě ohledně jeho kvality. Agentura měla rovněž pochybnosti ohledně koncepce a provedení studií porovnávajících přípravek HemAryo s referenčním léčivým přípravkem.

Agentura proto v době stažení žádosti nebyla schopna vyvodit závěr, zda je přípravek HemAryo velmi podobný referenčnímu léčivému přípravku, a zastávala názor, že na základě údajů předložených společností nemůže být přípravek registrován.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že žádost stahuje z důvodu závažných problémů s výrobou.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala agenturu, že všechny klinické studie přípravku HemAryo jsou dokončeny.