



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for HemAryo (eptacog alfa (aktiveret))

UGA Biopharma trak sin ansøgning om markedsføringstilladelse for HemAryo til behandling af blødningsepisoder og til forebyggelse af blødning efter kirurgiske indgreb hos patienter med koagulationsforstyrrelser tilbage.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 6. maj 2022.

Hvad er HemAryo, og hvad forventedes det anvendt til?

HemAryo blev udviklet som et lægemiddel til behandling af blødningsepisoder og til forebyggelse af blødning efter kirurgiske indgreb eller invasive procedurer hos patienter med:

- medfødt hæmofili (en blødningsforstyrrelse, som er til stede allerede fra fødslen), hvor patienten har udviklet eller forventes at udvikle "inhibitorer" (antistoffer) mod faktor VIII eller IX (proteiner, som medvirker ved blodets størkning)
- erhvervet hæmofili (en blødningssygdom, der skyldes udvikling af inhibitorer mod faktor VIII)
- medfødt faktor VII-mangel
- Glanzmanns trombasteni (en sjælden blødningsforstyrrelse), som ikke kan behandles med transfusion af blodplader (dele, der hjælper blodet til at størkne).

HemAryo indeholder det aktive stof eptacog alfa og skulle have været markedsført som pulver og solvens, der blandes til en opløsning, som gives ved injektion i en vene.

HemAryo blev udviklet som et "biosimilært" lægemiddel. Det betyder, at det var hensigten, at HemAryo skulle svare nøje til et andet biologisk lægemiddel, der allerede er godkendt i EU ("referencelægemidlet"). Referencelægemidlet for HemAryo er NovoSeven. Der kan indhentes yderligere oplysninger om biosimilære lægemidler [her](#).

Hvordan virker HemAryo?

Det aktive stof i HemAryo, eptacog alfa, er næsten identisk med et humant protein kaldet faktor VII. Eptacog alfa virker på samme måde som faktor VII. I kroppen medvirker faktor VII ved blodets

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



størkning. Det aktiverer en anden faktor kaldet faktor X, som starter størkningsprocessen. Ved at aktivere faktor X giver eptacog alfa midlertidig kontrol med blødningsforstyrrelsen.

Da faktor VII indvirker direkte på faktor X, uafhængigt af faktor VIII og IX, kan eptacog alfa anvendes hos hæmofilipatienter, som har udviklet inhibitorer over for faktor VIII og IX, og til at erstatte den manglende faktor VII hos patienter med faktor VII-mangel.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultaterne af laboratoriestudier, hvor HemAryo blev sammenlignet med referencelægemidlet for at undersøge, om det aktive stof i HemAryo nøje svarer til det aktive stof i NovoSeven med hensyn til struktur, renhed og biologisk aktivitet.

Resultaterne fra to kliniske studier blev også fremlagt for at vise, at HemAryo producerer samme niveau af det aktive stof som referencelægemidlet i kroppen, og at dets virkning kan være sammenlignelig med virkningen af NovoSeven.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den information, som virksomheden oprindeligt havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Virksomheden havde ikke besvaret spørgsmålene, da ansøgningen blev trukket tilbage.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at HemAryo ikke kunne være blevet godkendt til behandling af blødningsepisoder og til forebyggelse af blødning efter kirurgiske indgreb hos patienter med koagulationsforstyrrelser.

Agenturet havde betænkeligheder ved den måde, lægemidlet blev fremstillet på, hvilket førte til usikkerhed om lægemidlets kvalitet. Agenturet havde også betænkeligheder ved udformningen og gennemførelsen af de studier, hvor HemAryo blev sammenlignet med referencelægemidlet.

Derfor kunne agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen ikke drage konklusioner om, hvorvidt HemAryo nøje svarer til referencelægemidlet, og konkluderede, at lægemidlet ikke kunne være blevet godkendt på grundlag af dataene fra virksomheden.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den trak ansøgningen tilbage på grund af større produktionsproblemer.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at alle kliniske undersøgelser af HemAryo er afsluttet.