



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/496146/2024
EMA/H/C/005938

Alhemo (*Concizumab*)

Übersicht über Alhemo und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Alhemo und wofür wird es angewendet?

Alhemo ist ein Arzneimittel zur Vorbeugung von Blutungsepisoden (Routineprophylaxe) bei Patienten mit Hämophilie A oder B im Alter ab 12 Jahren.

Hämophilie A und B sind angeborene Blutungsstörungen, die durch den Mangel an Faktor VIII (für Hämophilie A) oder Faktor IX (für Hämophilie B) verursacht werden, bei denen es sich um Proteine handelt, die zur Erzeugung von Blutgerinnseln benötigt werden, um die Blutung zu beenden.

Alhemo wird bei Patienten angewendet, die Hemmkörper entwickelt haben, bei denen es sich um Antikörper (Proteine, die von der natürlichen Abwehr des Körpers gebildet werden) im Blut handelt. Diese Hemmkörper blockieren die Funktion von Arzneimitteln, die den Blutgerinnungsfaktor VIII bzw. IX ersetzen, und beeinträchtigen somit deren Wirkung.

Alhemo enthält den Wirkstoff Concizumab.

Wie wird Alhemo angewendet?

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte unter der Aufsicht eines in der Behandlung von Hämophilie oder Blutungsstörungen erfahrenen Arztes eingeleitet werden.

Alhemo wird einmal täglich mit einem Fertigtippen als Injektion unter die Haut verabreicht. Am ersten Tag der Behandlung wird eine Anfangsdosis verabreicht, die sich nach dem Körpergewicht des Patienten richtet. Ab dem zweiten Tag wird eine niedrigere Dosis verabreicht. Nach 4-wöchiger Behandlung passt der Arzt die Dosis basierend auf der Konzentration von Concizumab im Blut an. Nach entsprechender Einweisung können sich die Patienten das Arzneimittel selbst injizieren.

Weitere Informationen zur Anwendung von Alhemo entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Alhemo?

Bei Hämophilie A kommt es zu einem Mangel an Faktor VIII, bei Hämophilie B zu einem Mangel an Faktor IX. Dabei handelt es sich um Proteine im Körper, die das Blut bei der Gerinnung unterstützen. Bei Patienten, die Hemmkörper entwickelt haben, wirken Arzneimittel, die Faktor VIII oder Faktor IX enthalten, nicht ordnungsgemäß. Der Körper verfügt jedoch über ein weiteres Protein, das ebenfalls an

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



der Blutgerinnung beteiligt ist; dieses wird als Faktor Xa bezeichnet. Normalerweise wird dieser Faktor durch einen Tissue Factor Pathway Inhibitor (TFPI) – das Protein, das die Gerinnung von Faktor Xa verhindert – schnell blockiert.

Der Wirkstoff von Alhemo, Concizumab, ist ein monoklonaler Antikörper (eine Art von Protein), der so entwickelt wurde, dass er TFPI erkennt und daran bindet. Durch Binden an den TFPI verhindert Concizumab, dass TFPI den Faktor Xa blockiert, wodurch die Blutgerinnung durch Faktor Xa bei Patienten mit Hämophilie A oder B verstärkt wird.

Welchen Nutzen hat Alhemo in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie mit 127 Männern und Jungen ab 12 Jahren mit Hämophilie A oder B, die Hemmkörper entwickelt haben, wurde festgestellt, dass Alhemo die Anzahl der Blutungsepisoden wirksamer reduziert. Bei den 33 Patienten, die in die Analyse der jährlichen Blutungsrate einbezogen waren und eine vorbeugende Behandlung mit Alhemo erhielten, verringerte sich die jährliche Anzahl an Blutungen auf 1,7, verglichen mit 11,8 Blutungen bei Patienten, die keine vorbeugende Behandlung erhielten (sondern stattdessen bei Bedarf intravenös mit Gerinnungspräparaten behandelt wurden).

Patienten, die Alhemo erhielten, wiesen außerdem gemäß einem standardisierten Bewertungssystem (als SF-36v2 bezeichnet) eine leichte Verbesserung der Schmerzen und der körperlichen Leistungsfähigkeit auf. Bei den Patienten, die eine vorbeugende Behandlung mit Alhemo erhielten, verbesserten sich die Werte für Schmerzen und körperliche Leistungsfähigkeit auf der 100-Punkte-Skala um 9,2 Punkte bzw. 4,5 Punkte, verglichen mit 2,2 Punkten bzw. 1,2 Punkten bei Patienten, die keine vorbeugende Behandlung erhielten.

Welche Risiken sind mit Alhemo verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Alhemo ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Alhemo (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Reaktionen an der Injektionsstelle. Einige Nebenwirkungen können schwerwiegend sein. Zu den häufigsten gehören thromboembolische Ereignisse (Komplikationen aufgrund der Bildung von Blutgerinnseln in den Blutgefäßen) (0,9 %) und Überempfindlichkeitsreaktionen (allergische Reaktionen) (0,3 %).

Warum wurde Alhemo in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung umfassten die meisten Behandlungen für Patienten mit Hämophilie A oder B die Verabreichung von Faktor VIII oder Faktor IX als Tropfinfusion (sogenannte Substitutionstherapie). Obwohl neue Behandlungen für Hämophilie A und B bei Patienten ohne Hemmkörper zugelassen wurden, sind die Behandlungsoptionen für Patienten mit Hemmkörpern begrenzt. Es wurde gezeigt, dass Alhemo Blutungsepisoden bei Patienten mit Hämophilie A oder B, die Hemmkörper entwickelt haben, vorbeugt und die Lebensqualität verbessert. In Bezug auf die Nebenwirkungen wird Alhemo im Allgemeinen gut vertragen. Das wichtigste Sicherheitsproblem ist das Risiko thromboembolischer Ereignisse, das als beherrschbar erachtet wurde.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Alhemo gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Alhemo ergriffen?

Das Unternehmen, das Alhemo in Verkehr bringt, wird Angehörigen der Gesundheitsberufe, die das Arzneimittel voraussichtlich anwenden werden, Schulungsmaterialien mit Informationen über seine Sicherheit, einschließlich des potenziellen Risikos thromboembolischer Ereignisse und der Notwendigkeit, Patienten auf Anzeichen und Symptome zu überwachen, zur Verfügung stellen. Die Patienten erhalten außerdem einen Leitfaden sowie eine Patientenkarte, die sie bei sich tragen sollten.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Alhemo, die von Angehörigen der Gesundheitsberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Alhemo kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Alhemo werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Alhemo

Weitere Informationen zu Alhemo finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/alhemo>