



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/950876/2022
EMA/H/C/004406

Hemlibra (*Emicizumab*)

Übersicht über Hemlibra und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Hemlibra und wofür wird es angewendet?

Hemlibra ist ein Arzneimittel zur Vorbeugung oder Reduzierung von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (einer durch den Mangel an Faktor VIII bedingten, vererbten Blutungsstörung).

Das Arzneimittel wird bei folgenden Patientengruppen angewendet:

- Patienten, die Faktor-VIII-Hemmkörper entwickelt haben; dabei handelt es sich um Antikörper im Blut, die gegen Faktor-VIII-Arzneimittel wirken und verhindern, dass diese richtig funktionieren;
- Patienten ohne Faktor-VIII-Hemmkörper, deren Hämophilie A schwer oder mittelschwer (mit schwerem Blutungsphänotyp).

Hemlibra enthält den Wirkstoff Emicizumab.

Wie wird Hemlibra angewendet?

Hemlibra ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte von einem in der Behandlung von Hämophilie oder Blutungsstörungen erfahrenen Arzt eingeleitet werden.

Hemlibra ist als Lösung zur Injektion unter die Haut im Bauch, Oberschenkel oder Oberarm erhältlich. Nach entsprechender Schulung können Patienten bzw. ihre Betreuungspersonen Hemlibra zu Hause selbst spritzen. Die Injektion in den Arm darf nur von einer Betreuungsperson oder einer medizinischen Fachkraft gegeben werden.

Am Tag vor Beginn der Hemlibra-Behandlung müssen die Patienten die Behandlung mit Bypassing-Präparaten (Arzneimittel, die zur Vorbeugung von Blutungen bei Patienten mit Faktor-VIII-Hemmkörpern angewendet werden, wie z. B. aktiviertes Prothrombinkomplex-Konzentrat oder rekombinanter Faktor VIIa) absetzen.

Die Hemlibra-Dosis richtet sich nach dem Körpergewicht des Patienten. Die empfohlene Dosis beträgt in den ersten 4 Wochen 3 mg pro kg Körpergewicht einmal wöchentlich. Anschließend können die

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



Patienten die Behandlung mit entweder 1,5 mg/kg einmal wöchentlich, 3 mg/kg alle 2 Wochen oder 6 mg/kg alle vier Wochen fortsetzen. Hemlibra ist zur Langzeitanwendung bestimmt.

Wenn Sie weitere Informationen über die Anwendung von Hemlibra benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Hemlibra?

Patienten mit Hämophilie A haben einen Mangel an Faktor VIII, einer Substanz im Körper, die an der Blutgerinnung beteiligt ist. Der Wirkstoff in Hemlibra, Emicizumab, ist ein monoklonaler Antikörper, der entwickelt wurde, um die Wirkung zu entfalten, die Faktor VIII normalerweise besitzt – das Zusammenbringen von 2 Gerinnungsfaktoren (IXa und X) als Teil einer Kette von Reaktionen, die für die Blutgerinnung notwendig sind.

Da Emicizumab eine andere Struktur als Faktor VIII hat, wird es durch Faktor-VIII-Hemmkörper nicht beeinträchtigt. Die Entwicklung von Anti-Emicizumab-Antikörpern, die zum Verlust der Wirksamkeit führen, wurde jedoch nur selten in klinischen Studien beobachtet.

Welchen Nutzen hat Hemlibra in den Studien gezeigt?

In einer Studie mit 109 Patienten wurde gezeigt, dass Hemlibra Blutungen bei Patienten mit schwerer Hämophilie A und Faktor-VIII-Hemmkörpern wirksam vorbeugt: Bei Patienten, die Hemlibra zur Vorbeugung erhielten, traten weniger behandlungsbedürftige Blutungen auf (Äquivalent zu 3 pro Jahr) als bei Patienten, die keine vorbeugende Behandlung erhielten (Äquivalent zu 23 pro Jahr).

In die Studie wurden auch Patienten aufgenommen, die bereits eine vorbeugende Behandlung mit Arzneimitteln erhielten, die als „Bypassing-Präparate“ bezeichnet werden. Als diese Patienten auf Hemlibra umgestellt wurden, sank die Anzahl der behandelten Blutungen pro Patient vom Äquivalent zu ca. 16 Blutungen pro Jahr vor der Umstellung auf das Äquivalent von ca. 3 Blutungen pro Jahr danach. Patienten, die Hemlibra erhielten, wiesen außerdem höhere Lebensqualität-Punktwerte (Scores) auf als jene, die nicht mit Hemlibra behandelt wurden.

In einer Studie mit 152 Patienten wurde gezeigt, dass Hemlibra Blutungen auch bei Patienten, die an schwerer Hämophilie A leiden und keine Faktor-VIII-Hemmkörper aufweisen, wirksam vorbeugt: Bei Patienten, die Hemlibra zur Vorbeugung erhielten, trat etwa 1 behandlungsbedürftige Blutung pro Jahr auf, im Vergleich zu 38 Blutungen pro Jahr bei Patienten, die keine vorbeugende Behandlung erhielten.

Eine Studie, an der 51 Patienten teilnahmen, zeigte, dass Hemlibra bei Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A ohne Faktor-VIII-Hemmkörper, die aufgrund ihres schweren Blutungsphänotyps eine vorbeugende Behandlung benötigten, eine wirksame Blutungsprophylaxe bot. Bei Patienten, die Hemlibra erhielten, trat im Durchschnitt etwa eine behandlungsbedürftige Blutung pro Jahr auf.

Welche Risiken sind mit Hemlibra verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Hemlibra (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Juckreiz oder Schmerzen an der Injektionsstelle, Gelenk- und Kopfschmerzen.

Die schwerwiegendsten Nebenwirkungen, von denen bis zu 1 von 100 Behandelten betroffen sein kann, sind thrombotische Mikroangiopathie (Gerinnsel in kleinen Blutgefäßen) und Thrombose (Bildung von Gerinnseln in den Blutgefäßen), einschließlich Thrombose des Sinus cavernosus (Bildung von Gerinnseln an der Unterseite des Gehirns) und eine Thrombose der oberflächlichen Venen (Bildung von Gerinnseln in Venen unter der Haut, in der Regel in den Armen oder Beinen) mit Hautschädigung.

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

Warum wurde Hemlibra in der EU zugelassen?

Nur wenige Arzneimittel, die als „Bypassing-Präparate“ bezeichnet werden, sind für Patienten mit Hämophilie A, die Faktor-VIII-Hemmkörper entwickelt haben, geeignet. Hemlibra reduziert bei diesen Patienten Blutungsepisoden und verbessert ihre Lebensqualität. Zudem reduziert Hemlibra die Anzahl von Blutungen bei Patienten, die an mittelschwerer oder schwerer Hämophilie A leiden, aber keine Faktor-VIII-Hemmkörper aufweisen.

Die Nebenwirkungen von Hemlibra sind vertretbar, und Informationen zur Beherrschung der Risiken schwerwiegender Nebenwirkungen können der Fachinformation und den Schulungsmaterialien entnommen werden.

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

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

Das Unternehmen, das Hemlibra in Verkehr bringt, wird Schulungsmaterialien für Angehörige der Heilberufe, Patienten, Betreuungspersonen und Laborfachkräfte zu Nebenwirkungen im Zusammenhang mit einer abnormen Gerinnung, dem Risiko einer gleichzeitigen Einnahme von Hemlibra und Bypassing-Präparaten sowie zur Durchführung von Labortests für diese Patienten bereitstellen. Die Materialien werden die Produktinformation, Leitfäden und einen Patientenpass umfassen.

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

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

Weitere Informationen über Hemlibra

Am 23. Februar 2018 erhielt Hemlibra eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Hemlibra finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemlibra.

Diese Übersicht wurde zuletzt im 02-2023 aktualisiert.