



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranacogene dezaparvovec*)

Ανασκόπηση του Hemgenix και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Hemgenix και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Hemgenix είναι ένα φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων με σοβαρή και μετρίως σοβαρή μορφή αιμορροφιλίας Β, μια κληρονομική αιμορραγική διαταραχή που προκαλείται από την έλλειψη του παράγοντα ΙΧ (μια πρωτεΐνη που απαιτείται για την παραγωγή θρόμβων στο αίμα για την αναστολή της αιμορραγίας). Χρησιμοποιείται σε ενήλικες που δεν έχουν αναπτύξει αναστολές (πρωτεΐνες που παράγονται από τη φυσική άμυνα του οργανισμού) του παράγοντα ΙΧ.

Η αιμορροφιλία Β είναι σπάνια, και το Hemgenix χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 21 Μαρτίου 2018. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ:

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

Το Hemgenix περιέχει τη δραστική ουσία etranacogene dezaparvovec και είναι ένα είδος φαρμάκου προηγμένης θεραπείας που ονομάζεται «προϊόν γονιδιακής θεραπείας». Αυτό το είδος του φαρμάκου δρα μεταφέροντας γονίδια στο σώμα.

Πώς χρησιμοποιείται το Hemgenix;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη θεραπεία της αιμορροφιλίας ή/και των αιμορραγικών διαταραχών σε περιβάλλον όπου υπάρχει εξοπλισμός για την άμεση αντιμετώπιση των αντιδράσεων που σχετίζονται με την έγχυση.

Το Hemgenix χορηγείται μία φορά, με εφάπαξ ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση) διάρκειας μίας έως δύο ωρών. Η δόση εξαρτάται από το σωματικό βάρος του ασθενούς.

Πριν από τη χορήγηση της έγχυσης, ο ασθενής θα υποβληθεί σε ορισμένες εξετάσεις, μεταξύ άλλων, και σε εξετάσεις για τον έλεγχο της ηπατικής του υγείας και για να διαπιστωθεί εάν διαθέτει αναστολές του παράγοντα ΙΧ. Καθώς θα χρειαστούν αρκετές εβδομάδες πριν από την εμφάνιση οποιασδήποτε επίδρασης του Hemgenix, οι ασθενείς θα παρακολουθούνται στενά για τουλάχιστον 3 μήνες μετά την έγχυση προκειμένου να αποφασιστεί εάν χρειάζονται πρόσθετη αγωγή με θεραπεία υποκατάστασης του παράγοντα ΙΧ.

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



Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Hemgenix, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Hemgenix;

Οι ασθενείς με αιμορροφιλία Β παρουσιάζουν μεταλλάξεις (αλλαγές) στο γονίδιο που χρειάζεται ο οργανισμός για να παράγει την πρωτεΐνη πήξης του αίματος παράγοντα ΙΧ, με αποτέλεσμα τη μερική ή πλήρη έλλειψη της δράσης του.

Η δραστική ουσία του Hemgenix, η etranacogene dezaparvovec, βασίζεται σε έναν ιό που περιέχει αντίγραφο του γονιδίου που είναι υπεύθυνο για την παραγωγή του παράγοντα ΙΧ. Όταν χορηγείται στον ασθενή, ο ιός θα μεταφέρει το γονίδιο του παράγοντα ΙΧ στα ηπατικά κύτταρα, δίνοντάς τους τη δυνατότητα να παράγουν τον παράγοντα ΙΧ που λείπει, και ως εκ τούτου, να περιορίσουν τον αριθμό των αιμορραγικών επεισοδίων.

Ο τύπος του ιού που χρησιμοποιείται στο εν λόγω φάρμακο (αδενοσχετιζόμενος ιός) δεν προκαλεί νόσο στον άνθρωπο.

Ποιο είναι το όφελος του Hemgenix σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μια μελέτη στην οποία μετείχαν 54 ενήλικες άνδρες ασθενείς με σοβαρή ή μετρίως σοβαρή αιμορροφιλία Β διαπιστώθηκε ότι το Hemgenix ήταν πιο αποτελεσματικό στη μείωση των αιμορραγικών επεισοδίων σε σύγκριση με τη θεραπεία υποκατάστασης του παράγοντα ΙΧ. Η μελέτη συνέκρινε τον αριθμό των αιμορραγικών επεισοδίων που εμφάνισαν οι ασθενείς που υποβλήθηκαν σε θεραπεία υποκατάστασης του παράγοντα ΙΧ για διάστημα 6 μηνών πριν από τη χορήγηση Hemgenix με τον αριθμό των αιμορραγικών επεισοδίων που εμφάνισαν σε διάστημα 1 έτους οι ασθενείς που κατάφεραν να επιτύχουν σταθερά επίπεδα του παράγοντα ΙΧ κατόπιν θεραπείας με το Hemgenix. Τα δεδομένα που προέκυψαν από τη μελέτη κατέδειξαν ότι το Hemgenix μείωσε τον ετήσιο ρυθμό αιμορραγίας από 4,2 σε 1,5 αιμορραγίες ετησίως. Από τη μελέτη προέκυψε επίσης ότι το Hemgenix ήταν αποτελεσματικό στην αύξηση των επιπέδων του παράγοντα ΙΧ, με το 96% των ασθενών (52 από τους 54) να μην χρειάζονται πλέον θεραπεία υποκατάστασης του παράγοντα ΙΧ για διάστημα έως και 2 ετών μετά τη χορήγηση της έγχυσης.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Hemgenix;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Hemgenix (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι πονοκέφαλος, αυξημένα επίπεδα ορισμένων ηπατικών ενζύμων και γριπώδη συμπτώματα.

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Hemgenix, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Hemgenix δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που παρουσιάζουν υπερευαισθησία (αλλεργία) σε οποιοδήποτε από τα συστατικά του φαρμάκου, πάσχουν από ενεργό ή χρόνια (μακροχρόνια) λοίμωξη η οποία δεν ελέγχεται με φάρμακα ή πάσχουν από προχωρημένη ηπατική ίνωση ή κίρρωση (ανάπτυξη ουλώδους ιστού στο ήπαρ).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Hemgenix στην ΕΕ;

Κατά τον χρόνο της έγκρισης, οι ασθενείς με σοβαρή αιμορροφιλία Β χρειάζονταν διά βίου αγωγή με θεραπεία υποκατάστασης του παράγοντα ΙΧ. Το Hemgenix, χορηγούμενο ως εφάπαξ έγχυση, ήταν αποτελεσματικό στην πρόληψη της αιμορραγίας για χρονικό διάστημα τουλάχιστον 2 ετών, επιτρέποντας έτσι στους ασθενείς να διακόψουν την αγωγή με θεραπεία υποκατάστασης του παράγοντα ΙΧ και, ως εκ

τούτου, να περιορίσουν την επιβάρυνση που συνεπάγεται η θεραπεία της νόσου. Υπάρχουν ορισμένες αβεβαιότητες σχετικά με το χρονικό διάστημα που διαρκούν τα οφέλη του Hemgenix, δεδομένου ότι η κύρια μελέτη συμπεριέλαβε μικρό αριθμό ασθενών στους οποίους η ανταπόκριση αξιολογήθηκε για διάστημα έως 2 ετών. Παρά το γεγονός ότι τα δεδομένα σχετικά με τη μακροχρόνια ασφάλεια ήταν περιορισμένα, η εικόνα ασφάλειας του φαρμάκου κρίθηκε αποδεκτή.

Το Hemgenix έχει λάβει «έγκριση υπό όρους». Αυτό σημαίνει ότι ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Hemgenix υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό, αλλά η εταιρεία υποχρεούται να προσκομίσει πρόσθετα αποδεικτικά στοιχεία μετά τη χορήγηση της έγκρισης.

Η έγκριση υπό όρους χορηγείται βάσει λιγότερο ολοκληρωμένων δεδομένων από αυτά που συνήθως απαιτούνται. Χορηγείται σε φάρμακα τα οποία πληρούν μια ιατρική ανάγκη η οποία δεν έχει καλυφθεί για τη θεραπεία σοβαρών νόσων, και όταν τα οφέλη της διάθεσης των φαρμάκων αυτών νωρίτερα υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με τη χρήση των φαρμάκων αυτών εν αναμονή περαιτέρω αποδεικτικών στοιχείων. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο έως ότου καταστούν πλήρη τα δεδομένα, η δε παρούσα ανασκόπηση θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Hemgenix αναμένεται να υποβληθούν;

Δεδομένου ότι το Hemgenix έχει λάβει έγκριση υπό όρους, η παρασκευάστρια εταιρεία του εν λόγω φαρμάκου θα παράσχει πρόσθετα δεδομένα από εν εξελίξει μελέτες σχετικά με τη μακροχρόνια ασφάλεια και αποτελεσματικότητα του φαρμάκου, καθώς και σχετικά με τη διάρκεια της ανταπόκρισης, σε ασθενείς με σοβαρής έως μετρίως σοβαρής μορφής αιμορροφιλία Β. Η εταιρεία θα παράσχει επίσης δεδομένα από ένα μητρώο ασθενών που έλαβαν θεραπεία με Hemgenix προκειμένου να μελετήσει τη μακροχρόνια ασφάλεια και αποτελεσματικότητά του.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Hemgenix;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Hemgenix θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό στους ασθενείς ή τους φροντιστές τους καθώς και στους επαγγελματίες του τομέα της υγείας, με πληροφορίες σχετικά με τα οφέλη, τους κινδύνους και τις αβεβαιότητες που συνδέονται με τις μακροπρόθεσμες επιδράσεις και την ασφάλεια του φαρμάκου. Στους ασθενείς πρέπει επίσης να χορηγείται κάρτα ασθενούς η οποία θα ενημερώνει τους επαγγελματίες της υγείας ότι τους έχει χορηγηθεί θεραπεία με Hemgenix.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Hemgenix.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Hemgenix τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Hemgenix θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Hemgenix

Περισσότερες πληροφορίες για το Hemgenix διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix