



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranacogene dezaparvovec*)

Sintesi di Hemgenix e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Hemgenix e per cosa si usa?

Hemgenix è un medicinale usato per il trattamento di adulti affetti da emofilia B grave e moderatamente grave, un disturbo emorragico ereditario causato dalla mancanza del fattore IX (una proteina necessaria alla coagulazione al fine di arrestare il sanguinamento). È usato negli adulti che non hanno sviluppato inibitori (proteine prodotte dalle difese naturali dell'organismo) contro il fattore IX.

L'emofilia B è "rara" e Hemgenix è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 21 marzo 2018. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix contiene il principio attivo etranacogene dezaparvovec ed è un tipo di medicinale per terapia avanzata denominato "prodotto di terapia genica", ossia un tipo di medicinale che agisce introducendo geni nell'organismo.

Come si usa Hemgenix?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato sotto la supervisione di un medico esperto nel trattamento dell'emofilia e/o dei disturbi emorragici, in una struttura attrezzata per gestire tempestivamente le reazioni correlate all'infusione.

Hemgenix è somministrato come singola infusione (flebo) in vena della durata di una o due ore. La dose dipende dal peso corporeo del paziente.

Prima che gli sia praticata l'infusione il paziente deve essere sottoposto a una serie di test, tra l'altro per verificare lo stato di salute epatica e la presenza di inibitori del fattore IX. Poiché sono necessarie diverse settimane prima che sia osservato qualsiasi effetto di Hemgenix, i pazienti devono essere attentamente monitorati per almeno 3 mesi dopo l'infusione per accertare se necessitano di un ulteriore trattamento con la terapia sostitutiva del fattore IX.

Per maggiori informazioni sull'uso di Hemgenix, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

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



Come agisce Hemgenix?

I pazienti affetti da emofilia B presentano mutazioni (alterazioni) in un gene di cui l'organismo ha bisogno per produrre la proteina fattore IX per la coagulazione, che di conseguenza risulta parzialmente o totalmente inattiva.

Il principio attivo di Hemgenix, etranacogene dezaparvovec, si basa su un virus che contiene copie del gene responsabile della produzione del fattore IX. Quando viene somministrato al paziente il virus trasporta il gene del fattore IX nelle cellule epatiche, consentendo loro di produrre il fattore IX mancante e quindi di ridurre gli episodi di sanguinamento.

Il tipo di virus utilizzato nel medicinale (virus adeno-associato) non provoca malattie negli esseri umani.

Quali benefici di Hemgenix sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio condotto su 54 pazienti adulti di sesso maschile affetti da emofilia B grave o moderatamente grave si è riscontrato che Hemgenix era più efficace nel ridurre gli eventi di sanguinamento rispetto alla terapia sostitutiva con fattore IX. Lo studio ha confrontato il numero di eventi di sanguinamento in pazienti sottoposti a terapia sostitutiva con fattore IX durante un periodo di 6 mesi prima della somministrazione di Hemgenix con il numero di eventi di sanguinamento lamentato nell'arco di 1 anno dopo che i livelli di fattore IX erano stati stabilizzati con Hemgenix. Dai dati dello studio è emerso che Hemgenix aveva ridotto il tasso annuo di sanguinamento da 4,2 a 1,5 episodi. Lo studio ha anche riscontrato che Hemgenix era efficace nell'aumentare i livelli di fattore IX, in quanto il 96 % dei pazienti (52 su 54) non necessitava più della terapia sostitutiva con fattore IX fino a 2 anni dopo l'infusione.

Quali sono i rischi associati a Hemgenix?

Gli effetti indesiderati più comuni di Hemgenix (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono cefalea, aumento dei livelli di determinati enzimi epatici e sintomi simil-influenzali.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Hemgenix, vedere il foglio illustrativo.

Hemgenix non deve essere somministrato a soggetti ipersensibili (allergici) a uno qualsiasi dei suoi ingredienti né a soggetti che presentano un'infezione attiva o cronica (a lungo termine) non controllata da medicinali o che sono affetti da fibrosi epatica o cirrosi epatica (cicatizzazione del fegato) in stadio avanzato.

Perché Hemgenix è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'approvazione, i pazienti affetti da emofilia B grave necessitavano di un trattamento permanente con terapia sostitutiva con fattore IX. Hemgenix somministrato come infusione singola è risultato efficace nel prevenire il sanguinamento nell'arco di un periodo di almeno 2 anni, consentendo in tal modo ai pazienti di interrompere la terapia sostitutiva con fattore IX e rendendo il trattamento della malattia meno disagiata. Rimangono alcune incertezze sulla durata dei benefici di Hemgenix in quanto lo studio principale ha valutato la risposta in un numero limitato di pazienti e per un massimo di 2 anni. Sebbene i dati sulla sicurezza a lungo termine siano limitati, il profilo di sicurezza è stato considerato accettabile.

Hemgenix ha ottenuto una "autorizzazione subordinata a condizioni". Questo significa che l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Hemgenix sono superiori ai suoi rischi, ma la ditta dovrà fornire ulteriori prove dopo l'autorizzazione.

L'autorizzazione subordinata a condizioni è rilasciata sulla base di dati meno esaustivi di quelli normalmente richiesti per medicinali che rispondono a un'esigenza medica non soddisfatta relativa al trattamento di malattie gravi quando, in attesa di ulteriori dati, la disponibilità di tali medicinali in tempi più rapidi comporta benefici maggiori di qualsiasi rischio associato all'uso degli stessi. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni disponibili fino a quando non si avranno dati completi e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Hemgenix?

Poiché per Hemgenix è stata rilasciata un'autorizzazione subordinata a condizioni, la ditta che lo commercializza fornirà dati aggiuntivi acquisiti da studi in corso sulla sicurezza e sull'efficacia a lungo termine del medicinale, tra cui la durata della risposta, in pazienti affetti da emofilia B da grave a moderatamente grave. La ditta fornirà inoltre dati provenienti da un registro di pazienti trattati con Hemgenix per studiarne la sicurezza e l'efficacia a lungo termine.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Hemgenix?

La ditta che commercializza Hemgenix fornirà materiale informativo ai pazienti o a chi li assiste e agli operatori sanitari, contenente informazioni sui benefici, sui rischi e sulle incertezze riguardanti gli effetti a lungo termine e la sicurezza del medicinale. Ai pazienti deve inoltre essere fornita una scheda atta a informare gli operatori sanitari del trattamento con Hemgenix.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Hemgenix sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Hemgenix sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Hemgenix sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Hemgenix

Ulteriori informazioni su Hemgenix sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix.