



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranakogenas dezaparvovekas*)

Hemgenix apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Hemgenix ir kam jis vartojamas?

Hemgenix – tai vaistas, kuriuo gydomi suaugusieji, sergantys sunkia ir vidutinio sunkumo hemofilija B – paveldimu kraujavimo sutrikimu, kurį sukelia IX faktoriaus (baltymo, kurio reikia, kad susidarytų kraujo krešuliai ir būtų sustabdomas kraujavimas) trūkumas. Jis skiriamas suaugusiesiems, kurių organizme neišsivystė IX faktorių veikiantys inhibitoriai (organizmo natūralios apsaugos pagaminti baltymai).

Hemofilija B laikoma reta liga, todėl 2018 m. kovo 21 d. Hemgenix buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix sudėtyje yra veikliosios medžiagos etranakogeno dezaparvoveko, ir tai yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis genų terapijos vaistas. Tai vaistai, pernešantys genus į organizmą.

Kaip vartoti Hemgenix?

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydymą reikia pradėti prižiūrint gydytojui, turinčiam hemofilijos ir (arba) kraujavimo sutrikimų gydymo patirties, įstaigoje, kurioje galima nedelsiant gydyti su infuzija susijusias reakcijas.

Hemgenix vartojamas vieną kartą, atliekant vieną 1–2 valandų trukmės infuziją (lašinamas į veną). Vaisto dozė nustatoma pagal paciento kūno svorį.

Prieš atliekant infuziją, pacientui bus atlikti keli tyrimai, įskaitant tyrimus kepenų būklei patikrinti ir nustatyti, ar pacientas turi IX faktoriaus inhibitorių. Kadangi Hemgenix poveikis pasireiškia tik po kelių savaičių, pacientai bus atidžiai stebimi ne mažiau kaip 3 mėnesius po infuzijos, siekiant nustatyti, ar jiems reikia papildomo gydymo IX faktoriaus pakaitine terapija.

Daugiau informacijos apie Hemgenix vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

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



Kaip veikia Hemgenix?

Hemofilija B sergančių pacientų organizme yra geno, kurio reikia, kad organizme susidarytų krešėjimo baltymas IX faktorius, mutacijų (pakitimų), todėl jo aktyvumas arba iš dalies, arba visiškai sustoja.

Veiklioji Hemgenix medžiaga etranakogenas dezaparvovekas sudarytas iš viruso, kurio sudėtyje yra už IX faktoriaus gamybą atsakingo geno kopijų. Sulašintas pacientui virusas perneša IX faktoriaus geną į kepenų ląsteles, kad jos galėtų gaminti trūkstamą IX faktorių ir taip sumažinti kraujavimo epizodų skaičių.

Šio vaisto sudėtyje naudojamo tipo virusas (adeno-asocijuotas virusas) žmonėms ligos nesukelia.

Kokia Hemgenix nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus tyrimą, kuriame dalyvavo 54 suaugę vyrai, sergantys sunkia arba vidutinio sunkumo hemofilija B, nustatyta, kad Hemgenix veiksmingiau nei IX faktoriaus pakaitinė terapija sumažina kraujavimo epizodų skaičių. Tyrime buvo lyginamas kraujavimo epizodų, kurie pacientams pasireiškė 6 mėnesius taikant pakaitinę IX faktoriaus terapiją prieš pradėdant vartoti Hemgenix, ir kraujavimo epizodų, kurie jiems pasireiškė per 1 metų laikotarpį po to, kai vartojant Hemgenix IX faktoriaus koncentracija tapo stabili, skaičius. Tyrimo duomenys parodė, kad vartojant Hemgenix kraujavimas metų laikotarpiu sumažėjo nuo 4,2 iki 1,5 kraujavimo epizodo per metus. Atlikus tyrimą taip pat nustatyta, kad Hemgenix veiksmingai didino IX faktoriaus kiekį: 96 proc. (52 iš 54) pacientų neberekėjo taikyti IX faktoriaus pakaitinės terapijos iki 2 metų po infuzijos.

Kokia rizika susijusi su Hemgenix vartojimu?

Dažniausias Hemgenix šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas, padidėjęs tam tikrų kepenų fermentų kiekis ir į gripą panašūs simptomai.

Išsamų visų Hemgenix šalutinio poveikio reiškinių sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Hemgenix negalima vartoti esant padidėjusiam jautrumui (alergijai) kuriai nors jo sudedamajai medžiagai arba esant aktyviai ar lėtinei (ilgalaikei) infekcijai, kurios nepavyksta kontroliuoti vaistais, arba sergant pažengusia kepenų fibroze ar kepenų ciroze (kepenų surandėjimas).

Kodėl Hemgenix buvo registruotas ES?

Patvirtinimo metu sunkia hemofilija B sergantiems pacientams reikėjo visą gyvenimą taikyti pakaitinę IX faktoriaus terapiją. Hemgenix, vartojamas atliekant vieną infuziją, veiksmingai padėjo išvengti kraujavimo bent 2 metus, taigi pacientai galėjo nutraukti gydymą pakaitine IX faktoriaus terapija, o tai padėjo sumažinti ligos gydymo sukeltą naštą. Atsižvelgiant į tai, kad pagrindiniame tyrime vaisto poveikis nedideliame skaičiuje pacientų buvo vertinamas iki 2 metų, yra tam tikrų neaiškumų dėl to, kiek laiko trunka Hemgenix teikiama nauda. Nors ilgalaikių saugumo tyrimų duomenų nėra daug, nuspręsta, kad šio vaisto saugumo charakteristikos yra priimtinos.

Hemgenix registracija yra sąlyginė. Tai reiškia, kad Europos vaistų agentūra nusprendė, jog Hemgenix nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, bet po vaisto registracijos bendrovė turės pateikti papildomų įrodymų.

Sąlyginė registracija suteikiama remiantis mažiau išsamiais duomenimis, nei paprastai reikalaujama. Ji suteikiama vaistams, kurie patenkina nepatenkintą medicininį poreikį gydyti sunkias ligas ir kai vaistų prieinamumo nauda yra didesnė už riziką, siejamą su šių vaistų vartojimu, kol bus gauta daugiau įrodymų. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją, kol duomenys taps išsamūs, ir prireikus atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Hemgenix?

Kadangi Hemgenix registracija yra sąlyginė, šiuo vaistu prekiaujanti bendrovė pateiks papildomus šiuo metu dar tebevykdomų vaisto ilgalaikio saugumo ir veiksmingumo, įskaitant vaisto atsako trukmę, sunkia arba vidutinio sunkumo hemofilija B sergantiems pacientams tyrimų su duomenis. Bendrovė taip pat pateiks duomenų iš Hemgenix gydytų pacientų registro, kad galėtų ištirti jo ilgalaikį saugumą ir veiksmingumą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Hemgenix vartojimą?

Hemgenix prekiaujanti bendrovė pacientams arba juos prižiūrintiems asmenims ir sveikatos priežiūros specialistams pateiks šviečiamąją medžiagą su informacija apie vaisto naudą, keliamą riziką ir neaiškumus, susijusius su ilgalaikiu poveikiu ir saugumu. Pacientams taip pat turi būti išduota paciento kortelė, skirta informuoti sveikatos priežiūros specialistus apie tai, kad pacientai buvo gydomi Hemgenix.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Hemgenix vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Hemgenix vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Hemgenix šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Hemgenix

Daugiau informacijos apie Hemgenix rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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