



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranakogēna dezaparvoveks*)

Hemgenix pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Hemgenix* un kāpēc tās lieto?

Hemgenix ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pieaugušos ar smagu un vidēji smagu B hemofiliju — iedzimtu asinsreces traucējumu, ko izraisa IX faktora (proteīna, kas nepieciešams asins recekļu veidošanās novēršanai, lai apturētu asiņošanu) trūkums. Tās lieto pieaugušajiem, kuriem nav izstrādājušies inhibitori (organisma dabiskās aizsargsistēmas ražotie proteīni) pret IX faktoru.

B hemofilija ir "reta", un 2018. gada 21. martā *Hemgenix* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix satur aktīvo vielu etranakogēna dezaparvoveku un ir uzlabotās terapijas zāļu veids, ko sauc par "gēnu terapijas zālēm". Tas ir zāļu veids, kas darbojas, piegādājot organismam gēnus.

Kā lieto *Hemgenix*?

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti. Ārstēšana jāuzsāk tāda ārsta uzraudzībā, kuram ir pieredze hemofilijas un/vai asiņošanas traucējumu ārstēšanā, iestādē, kas aprūkta tā, lai ātri ārstētu ar infūziju saistītas reakcijas.

Hemgenix ievada vienreiz vienas infūzijas veidā vēnā (pa pilienam) vienas stundas līdz divu stundu laikā. Deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas.

Pirms infūzijas pacientam veic vairākas pārbaudes, tostarp aknu veselības pārbaudes, kā arī nosaka, vai pacientam ir IX faktora inhibitori. Tā kā vairākas nedēļas pirms *Hemgenix* lietošanas ir novērota jebkāda ietekme, pacientus rūpīgi uzraudzīs vismaz trīs mēnešus pēc infūzijas, lai izlemtu, vai viņiem nepieciešama papildu ārstēšana ar IX faktora aizstājterapiju.

Papildu informāciju par *Hemgenix* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā darbojas *Hemgenix*?

Pacientiem ar B hemofiliju ir mutācijas (izmaiņas) gēnā, kas organismā ir nepieciešams asins recēšanas proteīna IX faktora sintēzei, izraisot šā proteīna daļējo vai pilnīgo darbības pārtraukšanu.

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



Hemgenix aktīvā viela etranakogēna dezaparvoveks pamatā ir vīruss, kas satur tā gēna kopijas, kurš atbild par IX faktora sintēzi. Ievadot to pacientam, vīruss pārnesīs IX faktora gēnu uz aknu šūnām, ļaujot tām ražot trūkstozo IX faktoru un tādējādi ierobežot asiņošanas epizodes.

Šajās zālēs lietotais vīruss (adenoasociētais vīruss) neizraisa cilvēku saslimšanu.

Kādi *Hemgenix* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pētījumā ar 54 pieaugušiem vīriešu dzimuma pacientiem ar smagu vai vidēji smagu B hemofiliju konstatēja, ka *Hemgenix* ir efektīvākas asiņošanas epizožu samazināšanā nekā IX faktora aizstājterapija. Pētījumā salīdzināja to asiņošanas epizožu skaitu, ko pacienti bija saņēmuši ar IX faktora aizstājterapiju sešu mēnešu periodā pirms *Hemgenix* lietošanas, ar to epizožu skaitu, ko novēroja viena gada laikā pēc stabila IX faktora līmeņa sasniegšanas ar *Hemgenix*. Pētījuma dati liecināja, ka *Hemgenix* samazina asiņošanas biežumu gadā no 4,2 līdz 1,5 asiņošanas epizodēm gadā. Pētījumā arī konstatēja, ka *Hemgenix* bija efektīvas IX faktora līmeņa paaugstināšanai, jo 96 % pacientu (52 no 54) IX faktora aizstājterapija vairs nebija vajadzīga līdz diviem gadiem pēc infūzijas.

Kāds risks pastāv, lietojot *Hemgenix*?

Visbiežākās *Hemgenix* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir galvassāpes, paaugstināts noteiktu aknu enzīmu līmenis un gripai līdzīgi simptomi.

Pilnu visu ziņoto blakusparādību sarakstu, lietojot *Hemgenix*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Hemgenix nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret kādu šo zāļu sastāvdaļu, kuriem ir aktīva vai hroniska (ilgtermiņa) infekcija, ko nekontrolē ar zālēm, vai pacienti ar progresējošu aknu fibrozi vai aknu cirozi (aknu rētošanos).

Kāpēc *Hemgenix* ir reģistrētas ES?

Apstiprināšanas laikā pacientiem ar smagu B hemofiliju bija nepieciešama ārstēšana visu mūžu ar IX faktora aizstājterapiju. *Hemgenix*, ko ievadīja vienā infūzijas veidā, efektīvi novērsa asiņošanu vismaz divu gadu periodā, tādējādi ļaujot pacientiem pārtraukt ārstēšanu ar IX faktora aizstājterapiju, kas samazina slimības ārstēšanas radīto slogu. Pastāv dažas neskaidrības par to, cik ilgi *Hemgenix* ieguvumi saglabājas, ņemot vērā, ka pamatpētījumā tika vērtēta atbildes reakcija nelielam skaitam pacientu līdz pat diviem gadiem. Lai gan ilgtermiņa drošuma dati ir ierobežoti, drošuma profils tika uzskatīts par pieņemamu.

Hemgenix ir reģistrētas "ar nosacījumiem". Tas nozīmē, ka Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Hemgenix*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, bet uzņēmumam pēc reģistrācijas būs jāiesniedz papildu pierādījumi.

Reģistrācija ar nosacījumiem tiek piešķirta, pamatojoties uz mazāk visaptverošiem datiem, nekā parasti tiek prasīts. Tā tiek piešķirta zālēm, kas atbilst neapmierinātām medicīniskām vajadzībām ārstēt nopietnas slimības, un, gaidot papildu pierādījumus, ieguvumi no to pieejamības ir lielāki par riskiem, kas saistīti ar zāļu lietošanu. Eiropas Zāļu aģentūra ik gadu pārbaudīs visu pieejamo jauno informāciju, līdz dati kļūst visaptveroši, un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Hemgenix* vēl ir sagaidāma?

Tā kā *Hemgenix* ir reģistrētas ar nosacījumiem, uzņēmums, kas piedāvā tirgū šīs zāles, iesniegs papildu datus no pašlaik notiekošiem pētījumiem par zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti, tostarp par to, cik ilgi saglabājas atbildes reakcija, pacientiem ar smagu līdz vidēji smagu B hemofiliju.

Uzņēmums arī nodrošinās datus no reģistra par pacientiem, kurus ārstē ar *Hemgenix*, lai pētītu šo zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Hemgenix* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Hemgenix*, pacientiem vai viņu aprūpētājiem un veselības aprūpes speciālistiem nodrošinās izglītojošus materiālus ar informāciju par ieguvumiem, riskiem un neskaidrībām saistībā ar zāļu ilgtermiņa iedarbību un drošumu. Pacienti ir arī jāizsniedz pacienta kartīte, lai informētu veselības aprūpes speciālistus, ka viņi ir ārstēti ar *Hemgenix*.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Hemgenix* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Hemgenix* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Hemgenix* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Hemgenix*

Sīkāka informācija par *Hemgenix* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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