



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranacogen dezaparvovec*)

Een overzicht van Hemgenix en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Hemgenix en wanneer wordt het voorgeschreven?

Hemgenix is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met ernstige en matig ernstige hemofilie B, een erfelijke bloedingsstoornis die wordt veroorzaakt door een tekort aan factor IX (een eiwit dat nodig is om bloedstolsels te produceren om bloedingen te stoppen). Het middel wordt gebruikt bij volwassenen die geen remmers (door het natuurlijke afweersysteem van het lichaam gemaakte eiwitten) tegen factor IX hebben ontwikkeld.

Hemofilie B is zeldzaam, en Hemgenix werd op 21 maart 2018 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix bevat de werkzame stof etranacogen dezaparvovec en is een geavanceerd geneesmiddel voor genterapie. Dit type geneesmiddel werkt door genen aan het lichaam toe te dienen.

Hoe wordt Hemgenix gebruikt?

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling moet worden gestart onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van hemofilie en/of bloedingsstoornissen, in een medische instelling die is uitgerust met de nodige voorzieningen voor de onmiddellijke behandeling van infusiegerelateerde reacties.

Hemgenix wordt eenmaal toegediend via één enkele infusie (indruppeling) in een ader gedurende één tot twee uur. De dosis is afhankelijk van het lichaamsgewicht van de patiënt.

Voorafgaand aan de infusie ondergaat de patiënt een aantal tests, waaronder tests om zijn/haar levergezondheid te controleren en om na te gaan of hij/zij over factor IX-remmers beschikt. Aangezien het enkele weken duurt voordat Hemgenix werkzaam wordt, worden patiënten gedurende ten minste drie maanden na de infusie nauwlettend gecontroleerd om te beslissen of ze een aanvullende behandeling met factor IX-ervangingstherapie nodig hebben.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Hemgenix.

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



Hoe werkt Hemgenix?

Patiënten met hemofilie B hebben mutaties (veranderingen) in een gen dat het lichaam nodig heeft om het stollingseiwit factor IX aan te maken, waardoor de activiteit van het eiwit geheel of gedeeltelijk teniet wordt gedaan.

De werkzame stof in Hemgenix, etranacogen dezaparvovec, is gebaseerd op een virus dat kopieën bevat van het gen dat verantwoordelijk is voor de productie van factor IX. Bij toediening aan de patiënt draagt het virus het factor IX-gen over naar de levercellen, waardoor deze de ontbrekende factor IX kunnen produceren en zo bloedingsepisoden kunnen beperken.

Het virus dat in dit geneesmiddel wordt gebruikt (adeno-geassocieerd virus), veroorzaakt bij de mens geen ziekte.

Welke voordelen bleek Hemgenix tijdens de studies te hebben?

Uit een studie onder 54 volwassen mannelijke patiënten met ernstige of matig ernstige hemofilie B bleek dat Hemgenix werkzaam was bij het verminderen van bloedingsvoorvallen dan factor IX-ervangingstherapie. In de studie werd het aantal bloedingsepisodes dat zich tijdens een periode van zes maanden voorafgaand aan de behandeling met Hemgenix voordeed bij patiënten die factor IX-ervangingstherapie kregen, vergeleken met het aantal bloedingsepisodes gedurende een periode van één jaar nadat met Hemgenix stabiele factor IX-spiegels waren bereikt. Uit de gegevens van de studie bleek dat Hemgenix het jaarlijkse aantal bloedingen verlaagde van 4,2 naar 1,5 bloedingen per jaar. Uit de studie bleek ook dat Hemgenix werkzaam was bij het verhogen van de factor IX-spiegels en dat 96 % van de patiënten (52 van de 54) tot twee jaar na de infusie geen behandeling met factor IX meer nodig had.

Welke risico's houdt het gebruik van Hemgenix in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Hemgenix (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn hoofdpijn, verhoogde concentraties van bepaalde leverenzymen en griepachtige symptomen.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van Hemgenix.

Hemgenix mag niet worden toegediend aan patiënten die overgevoelig (allergisch) zijn voor een van de bestanddelen van het middel, patiënten die een actieve of chronische (langdurige) infectie hebben die niet met geneesmiddelen onder controle kan worden gehouden, of patiënten die lijden aan gevorderde leverfibrose of levercirrose (littekenvorming in de lever).

Waarom is Hemgenix geregistreerd in de EU?

Op het moment van goedkeuring was bij patiënten met ernstige hemofilie B levenslange behandeling met factor IX-ervangingstherapie noodzakelijk. Hemgenix, toegediend als één enkele infusie, was werkzaam bij het voorkomen van bloedingen gedurende een periode van ten minste twee jaar, zodat patiënten de behandeling met factor IX-ervangingstherapie konden stopzetten, waardoor de last van de behandeling van de ziekte werd verminderd. Er bestaat enige onzekerheid over hoe lang de voordelen van Hemgenix aanhouden, aangezien in de hoofdstudie de respons bij een klein aantal patiënten gedurende maximaal twee jaar werd beoordeeld. Hoewel er slechts beperkte gegevens over de veiligheid op lange termijn beschikbaar zijn, werd het veiligheidsprofiel aanvaardbaar geacht.

Aan Hemgenix is 'voorwaardelijke registratie' verleend. Dit betekent dat het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Hemgenix groter zijn dan de risico's, maar dat het bedrijf aanvullend bewijs moet overleggen na toelating.

Voorwaardelijke registratie wordt verleend op basis van minder volledige gegevens dan gewoonlijk. Voorwaardelijk registratie wordt verleend voor geneesmiddelen die voldoen aan een onvervulde medische behoefte om ernstige ziekten te behandelen en wanneer de voordelen van het in een vroeger stadium verkrijgbaar zijn groter zijn dan de risico's in verband met het gebruik van de geneesmiddelen in afwachting van verder bewijs. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen totdat de gegevens zijn vervolledigd, en dit overzicht zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Hemgenix?

Aangezien aan Hemgenix voorwaardelijke registratie is verleend, zal het bedrijf dat dit geneesmiddel in de handel brengt aanvullende gegevens verstrekken van lopende studies naar de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel op lange termijn, alsook de duur van de respons, bij patiënten met ernstige tot matig ernstige hemofilie B. Het bedrijf zal ook gegevens verstrekken van een register van met Hemgenix behandelde patiënten om de veiligheid en werkzaamheid op lange termijn te onderzoeken.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Hemgenix te waarborgen?

Het bedrijf dat Hemgenix in de handel brengt, zal aan patiënten of hun verzorgers en aan professionele zorgverleners voorlichtingsmateriaal verstrekken met informatie over de voordelen, risico's en onzekerheden met betrekking tot de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel op lange termijn. Patiënten moeten ook een patiëntenkaart krijgen om professionele zorgverleners erop te wijzen dat ze met Hemgenix zijn behandeld.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Hemgenix, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Hemgenix continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Hemgenix worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Hemgenix

Meer informatie over Hemgenix is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix