



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Hemgenix (*etranakogen dezaparvovek*)

Pregled zdravila Hemgenix in zakaj je odobreno v EU

### Kaj je zdravilo Hemgenix in za kaj se uporablja?

Zdravilo Hemgenix se uporablja za zdravljenje odraslih s hudo in zmerno hudo hemofilijo B, prirojeno motnjo strjevanja krvi zaradi pomanjkanja faktorja IX (beljakovine, ki je potrebna za nastanek krvnih strdkov za zaustavitev krvavitve). Uporablja se pri odraslih, pri katerih se niso razvili zaviralci proti faktorju IX (beljakovine, ki jih tvori naravni obrambni mehanizem telesa).

Hemofilija B je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Hemgenix 21. marca 2018 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Zdravilo Hemgenix vsebuje učinkovino etranakogen dezaparvovek in spada v skupino zdravil za napredno zdravljenje, ki se imenujejo „zdravila za gensko zdravljenje“. Gre za skupino zdravil, ki delujejo tako, da prenesejo gene v telo.

### Kako se zdravilo Hemgenix uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept. Zdravljenje je treba začeti pod nadzorom zdravnika, ki ima izkušnje z zdravljenjem hemofilije in/ali motenj strjevanja krvi v ustanovi, ki je opremljena za takojšnje zdravljenje neželenih reakcij, povezanih z infundiranjem.

Zdravilo Hemgenix se daje enkrat v obliki enkratne (kapalne) infuzije v veno, ki traja eno do dve uri. Odmerek je odvisen od telesne mase bolnika.

Pred infuzijo mora bolnik opraviti številne preiskave, vključno s preiskavami stanja jeter in testom na prisotnost zaviralcev faktorja IX. Ker zdravilo Hemgenix prve učinke pokaže šele po nekaj tednih, bodo bolniki vsaj tri mesece po infundiranju skrbno nadzorovani, da se ugotovi, ali potrebujejo dodatno zdravljenje z nadomeščanjem faktorja IX.

Za več informacij glede uporabe zdravila Hemgenix glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Kako zdravilo Hemgenix deluje?**

Bolniki s hemofilijo B imajo mutacije (spremembe) v genu, ki ga telo potrebuje za tvorbo koagulacijske beljakovine faktor IX, katerih posledica je delna ali popolna okrnitev njegovega delovanja.

Učinkovina v zdravilu Hemgenix, etranakogen dezaparovek, je osnovana na virusu, ki vsebuje kopije gena, odgovornega za tvorbo faktorja IX. Ko se virus injicira v bolnika, ta prenese gen faktorja IX v jetrne celice, kar jim omogoči tvorjenje manjkajočega faktorja IX ter s tem zmanjšanje epizod krvavitev.

Vrsta virusa, uporabljenega v tem zdravilu (z adenovirusi povezan virus), ne povzroča bolezni pri ljudeh.

## **Kakšne koristi zdravila Hemgenix so se pokazale v študijah?**

V študiji, v katero je bilo vključenih 54 odraslih moških bolnikov s hudo ali zmerno hudo hemofilijo B, je bilo ugotovljeno, da je zdravilo Hemgenix učinkovitejše pri zmanjševanju krvavitev kot zdravljenje z nadomeščanjem faktorja IX. V njej so primerjali število epizod krvavitev pri bolnikih, ki so se zdravili z nadomeščanjem faktorja IX, v šestmesečnem obdobju pred prejemom zdravila Hemgenix s številom, zabeleženim v enoletnem obdobju po vzpostavitvi stabilnih ravni faktorja IX z zdravilom Hemgenix. Podatki iz te študije so pokazali, da je zdravilo Hemgenix zmanjšalo letno stopnjo krvavitev s 4,2 na 1,5 krvavitve na leto. V študiji so prav tako ugotovili, da je bilo zdravilo Hemgenix učinkovito pri zviševanju ravni faktorja IX, saj 96 % (52 od 54) bolnikov do dve leti po infundiranju ni več potrebovalo zdravljenja z nadomeščanjem faktorja IX.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Hemgenix?**

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Hemgenix (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 bolniku od 10) so glavobol, zvišane ravni določenih jetrnih encimov in gripi podobni simptomi.

Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Hemgenix, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Hemgenix se ne sme dajati osebam, ki so preobčutljive za (alergične na) katero koli sestavino zdravila, ki imajo aktivno ali kronično (dolgotrajno) okužbo, ki je ni mogoče obvladati z zdravili, ali ki imajo napredno fibrozo jeter ali cirozo jeter (brazgotinjenje jeter).

## **Zakaj je bilo zdravilo Hemgenix odobreno v EU?**

V času odobritve je bilo pri bolnikih s hudo hemofilijo B potrebno vseživljenjsko zdravljenje z nadomeščanjem faktorja IX. Zdravilo Hemgenix, dano v obliki ene infuzije, je bilo učinkovito pri preprečevanju krvavitev v obdobju vsaj dveh let, kar je bolnikom omogočilo prekinitve zdravljenja z nadomeščanjem faktorja IX, s čemer se je zmanjšalo breme, ki ga povzroči zdravljenje bolezni. Glede na to, da so v glavni študiji ocenjevali odziv pri majhnem številu bolnikov v obdobju do dveh let, obstaja nekaj negotovosti o tem, kako dolgo trajajo koristi zdravila Hemgenix. Čeprav so podatki o dolgoročni varnosti omejeni, je bil varnostni profil ocenjen kot sprejemljiv.

Zdravilo Hemgenix je pridobilo „pogojno dovoljenje za promet“. To pomeni, da je Evropska agencija za zdravila zaključila, da so koristi zdravila Hemgenix večje od z njim povezanih tveganj, vendar bo morale podjetje po pridobitvi dovoljenja za promet predložiti dodatne dokaze.

Pogojno dovoljenje za promet z zdravilom se izda na podlagi manj izčrpnih podatkov, kot je običajno potrebno. Izda se za zdravila, ki izpolnjujejo neizpolnjeno zdravstveno potrebo po zdravljenju resnih bolezni, in kadar koristi zgodnejše razpoložljivosti zdravil odtehtajo tveganja, povezana z uporabo

zdravil, medtem ko se čaka na dodatne dokaze. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, dokler podatki ne bodo popolni. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

### **Katere informacije o zdravilu Hemgenix še pričakujemo?**

Ker je zdravilo Hemgenix pridobilo pogojno dovoljenje za promet, bo podjetje, ki ga trži, zagotovilo dodatne podatke iz potekajočih študij o dolgoročni varnosti in učinkovitosti zdravila, vključno s tem, kako dolgo traja odziv pri bolnikih s hudo do zmerno hudo hemofilijo B. Podjetje bo predložilo tudi podatke iz registra bolnikov, zdravljenih z zdravilom Hemgenix, za proučitev njegove dolgoročne varnosti in učinkovitosti.

### **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Hemgenix?**

Podjetje, ki trži zdravilo Hemgenix, bo zagotovilo izobraževalno gradivo za bolnike in njihove negovalce ter zdravstvene delavce z informacijami o koristih, tveganjih in negotovostih v zvezi z dolgoročnimi učinki in varnostjo zdravila. Bolniki morajo prejeti tudi kartico za bolnike, s katero zdravstvene delavce opozorijo na to, da so bili zdravljeni z zdravilom Hemgenix.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Hemgenix upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Hemgenix stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Hemgenix, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

### **Druge informacije o zdravilu Hemgenix**

Nadaljnje informacije za zdravilo Hemgenix so na voljo na spletni strani agencije:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix).