



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranakogen-dezaparvovek*)

Sammanfattning av Hemgenix och varför det är godkänt inom EU

Vad är Hemgenix och vad används det för?

Hemgenix är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med svår och medelsvår form av hemofili B, en ärftlig blödningssjukdom som orsakas av brist på faktor IX (ett protein som behövs för att tillverka blodkoagel för att stoppa blödning). Det ges till vuxna som inte har utvecklat hämmare (proteiner som framställs av kroppens naturliga försvar) mot faktor IX.

Hemofili B är sällsynt och Hemgenix klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 21 mars 2018. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix innehåller den aktiva substansen etranakogen-dezaparvovek och är en typ av läkemedel för avancerad terapi som kallas "genterapiprodukt". Det är en typ av läkemedel som verkar genom att gener förs in i kroppen.

Hur används Hemgenix?

Läkemedlet är receptbelagt. Behandling måste inledas under övervakning av en läkare med erfarenhet av att behandla hemofili och/eller blödningssjukdomar och vid en inrättning som är utrustad för att snabbt behandla infusionsrelaterade reaktioner.

Hemgenix ges en gång som en engångsinfusion (dropp) i en ven under en till två timmar. Dosen beror på patientens kroppsvikt.

Innan infusionen ges kommer patienten att genomgå ett antal undersökningar, bland annat för att kontrollera leverfunktionen och eventuell förekomst av faktor IX-hämmare. Eftersom det kommer att ta flera veckor innan Hemgenix visar på några effekter, kommer patienterna att övervakas noga under minst 3 månader efter infusionen för att avgöra om de behöver ytterligare faktor IX-ersättningsbehandling.

För mer information om hur du använder Hemgenix, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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



Hur verkar Hemgenix?

Patienter med hemofili B har mutationer (förändringar) i en gen som kroppen behöver för att tillverka koagulationsproteinet faktor IX, vilket leder till antingen partiell eller fullständig brist på dess aktivitet.

Den aktiva substansen i Hemgenix, etranakogen-dezaparvovek, är baserad på ett virus som innehåller kopior av den gen som ansvarar för att tillverka faktor IX. När viruset ges till patienten kommer faktor IX-genen att överföras till levercellerna så att de kan tillverka den faktor IX som saknas och därigenom begränsa blödningsepisoderna.

Den typ av virus som används i läkemedlet (adenoassocierat virus) orsakar inte sjukdom hos människor.

Vilka fördelar med Hemgenix har visats i studierna?

I en studie på 54 vuxna manliga patienter med svår eller medelsvår form av hemofili B fann man att Hemgenix var effektivare när det gällde att minska blödningshändelser än faktor IX-ersättningsbehandling. I studien jämfördes antalet blödningsepisoder som patienterna hade med faktor IX-ersättningsbehandling under en period på 6 månader innan de fick Hemgenix med antalet blödningsepisoder under en period på 1 år efter att de uppnått stabila faktor IX-nivåer med Hemgenix. Data från studien visade att Hemgenix minskade den årliga blödningfrekvensen från 4,2 till 1,5 blödningar per år. Studien visade också att Hemgenix var effektivt när det gällde att öka faktor IX-nivåerna, då 96 procent av patienterna (52 av 54) inte längre behövde faktor IX-ersättningsbehandling i upp till 2 år efter infusionen.

Vilka är riskerna med Hemgenix?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Hemgenix (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är huvudvärk, förhöjda nivåer av vissa leverenzymmer och influensaliknande symtom.

En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Hemgenix finns i bipacksedeln.

Hemgenix får inte ges till personer som är överkänsliga (allergiska) mot något innehållsämne, som har en aktiv eller kronisk (långvarig) infektion som inte kontrolleras med läkemedel eller som har avancerad leverfibros eller levercirros (ärrbildning i levern).

Varför är Hemgenix godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet behövde patienter med svår hemofili B få livslång faktor IX-ersättningsbehandling. När Hemgenix gavs som en engångsinfusion var det effektivt för att förebygga blödning under en period på minst 2 år. Detta ledde till att patienterna kunde avbryta sin faktor IX-ersättningsbehandling, vilket minskade sjukdomens behandlingsbörda. Det råder en viss osäkerhet kring hur länge fördelarna med Hemgenix håller i sig, med tanke på att huvudstudien utvärderade svaret hos ett litet antal patienter i upp till 2 år. Även om de långsiktiga säkerhetsuppgifterna var begränsade ansågs säkerhetsprofilen vara godtagbar.

Hemgenix har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Hemgenix är större än riskerna, men att företaget kommer att behöva lämna ytterligare belägg efter godkännandet.

Villkorat godkännande beviljas på grundval av mindre omfattande data än vad som normalt krävs. Det beviljas för läkemedel som tillmötesgår ett ouppfyllt medicinskt behov av att behandla allvarliga sjukdomar och när fördelarna med att ha dem tillgängliga tidigare uppväger riskerna vid användning

av läkemedlen i väntan på ytterligare belegg. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år tills uppgifterna blir fullständiga och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Hemgenix saknas för närvarande?

Eftersom Hemgenix har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande" ska företaget som marknadsför Hemgenix lämna in ytterligare data från pågående studier om läkemedlets långsiktiga säkerhet och effekt, inräknat hur länge svaret varar, hos patienter med svår eller medelsvår form av hemofili B. Företaget kommer också att lämna in data från ett register över patienter som behandlas med Hemgenix för att studera dess långsiktiga säkerhet och effekt.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Hemgenix?

Företaget som marknadsför Hemgenix kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial till patienter eller deras vårdare samt till hälso- och sjukvårdspersonal, med information om fördelarna, riskerna och ovissheterna kring läkemedlets långsiktiga effekt och säkerhet. Patienterna ska också få ett patientkort för att informera hälso- och sjukvårdspersonalen om att de har behandlats med Hemgenix.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Hemgenix har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Hemgenix kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Hemgenix utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienter.

Mer information om Hemgenix

Mer information om Hemgenix finns på EMA:s webbplats:

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