



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (etranakogeendesaparvovek)

Ülevaade ravimist Hemgenix ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Hemgenix ja milleks seda kasutatakse?

Hemgenix on ravim, mida kasutatakse täiskasvanute raviks, kellel on raske või mõõdukas B-hemofiilia. See on IX hüübimisfaktori (teatud valk, mis on vajalik verehüüvete tekitamiseks verejooksu peatamiseks) vaegusest tingitud pärilik hüübimishäire. Seda kasutatakse täiskasvanutel, kellel ei ole tekkinud IX hüübimisfaktori vastaseid inhibiitoreid (organismi looduslike kaitsemehhanismide toodetud valke).

B-hemofiilia esineb harva ja Hemgenix nimetati 21. märtsil 2018 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix sisaldab toimeainena etranakogeendesaparvovekki ja on geeniteraapiaravimite hulka kuuluv uudne ravim. Need on ravimid, mille toime avaldub geenide viimisel organismi.

Kuidas Hemgenixit kasutatakse?

Hemgenix on retseptiravim. Ravi tuleb alustada hemofiilia ja/või veritsushäirete ravis kogenud arsti järelevalve all asutuses, kus on olemas infusioonireaktsioonide kohese ravi vahendid.

Hemgenixit manustatakse üks kord ühekordse 1–2 tundi kestva veeniinfusioonina. Annus sõltub patsiendi kehamassist.

Enne infusiooni tehakse patsiendile mitu uuringut, sealhulgas maksatalitluse ja IX hüübimisfaktori inhibiitorite olemasolu kontrollimiseks. Et Hemgenixi toime ilmneb alles mitme nädala pärast, jälgitakse patsiente hoolikalt vähemalt 3 kuud pärast infusiooni, et otsustada, kas nad vajavad lisaravina IX hüübimisfaktori asendusravi.

Lisateavet Hemgenixi kasutamise kohta saate pakendi infolehtelt või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Hemgenix toimib?

B-hemofiiliaga patsientidel on mutatsioonid (muutused) geenis, mida organism vajab IX hüübimisfaktori tootmiseks, mistõttu puudub selle aktiivsus kas osaliselt või täielikult.



Hemgenixi toimeaine etranakogeendesaparvovek põhineb viirusel, mis sisaldab IX hüübimisfaktori tootmise eest vastutava geeni koopiaid. Patsiendile manustatuna kannab viirus IX hüübimisfaktori geeni maksarakkudesse, võimaldades neil toota puuduvat IX hüübimisfaktorit ja seega piirata verejooksuepisoodide.

Ravimis kasutatav viirustüüp (adeno-assotsieerunud viirus) ei põhjusta inimese haigestumist.

Milles seisneb uuringute põhjal Hemgenixi kasulikkus?

Uuringus, milles osales 54 raske või mõõduka B-hemofiiliaga täiskasvanud meespatsienti, leiti, et Hemgenix vähendas verejooksujuhte efektiivsemalt kui IX hüübimisfaktori asendusravi. Uuringus võrreldi IX hüübimisfaktori asendusravi saavatel patsientidel 6 kuu jooksul enne Hemgenixi manustamist tekkinud verejooksuepisoodide arvu nende verejooksuepisoodide arvuga, mis tekkisid neil 1 aasta jooksul pärast hüübimisfaktori stabiilse sisalduse saavutamist Hemgenixiga. Uuringu andmed näitasid, et Hemgenix vähendas verejooksusagedust 4,2 verejooksult aastas 1,5 verejooksule aastas. Uuringus leiti ka, et Hemgenix oli efektiivne IX hüübimisfaktori sisalduse suurendamisel, kusjuures 96% patsientidest (52 patsienti 54st) ei vajanud kuni 2 aastat pärast infusiooni enam IX hüübimisfaktori asendusravi.

Mis riskid Hemgenixiga kaasnevad?

Hemgenixi kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on peavalu, teatud maksaensüümide sisalduse suurenemine ja gripilaadsed sümptomid.

Hemgenixi kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Hemgenixit ei tohi manustada patsientidele, kes on selle ravimi mis tahes koostisaine suhtes ülitundlikud (allergilised), kellel on aktiivne või krooniline (pikaajaline) ravimitele allumatu infektsioon, või kellel on kauglearenenud maksafibroos või maksatsirroos (maksa sidekoestumine).

Miks Hemgenix ELis heaks kiideti?

Heakskiitmise ajal vajasisid raske B-hemofiiliaga patsiendid elukestvat ravi IX hüübimisfaktori asendusraviga. Ühekordse infusioonina manustatud Hemgenix oli efektiivne verejooksu ennetamisel vähemalt 2 aasta jooksul, mis võimaldab patsientidel seega katkestada IX hüübimisfaktori asendusravi, mis vähendab haiguse ravist tingitud koormust. Hemgenixi kasulikkuse osas esineb teatud määramatusi seoses kasulikkuse kestusega, sest põhiuuringus hinnati väikese arvu patsientide ravivastust kuni 2 aasta jooksul. Kuigi pikaajalised ohutusandmed olid piiratud, peeti ohutusprofiili vastuvõetavaks.

Hemgenix on saanud müügiloo tingimusliku heakskiidu alusel. See tähendab, et Euroopa Ravimiamet otsustas, et Hemgenixi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, kuid ettevõtte peab pärast müügiloo andmist esitama lisatõendeid.

Tingimuslik müügiluba antakse vähem põhjalike andmete alusel, kui nõutakse tavapäraselt. See antakse ravimitele, millega ravitakse täitmata ravivajadusega raskeid haigusi, ja kui täiendavaid tõendeid oodates on ravimite varasema kättesaadavuse kasulikkus suurem kui kasutamisega seotud riskid. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe, kuni andmed on terviklikud, ning vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

Mis teavet Hemgenixi kohta veel oodatakse?

Et Hemgenix on saanud müügiloa tingimusliku heakskiidu alusel, esitab ravimi turustaja lisaandmeid toimuvast uuringust ravimi pikaajalise ohutuse ja efektiivsuse kohta, sealhulgas ravivastuse kestuse kohta raske kuni mõõduka B-hemofiiliaga patsientidel. Ettevõtte esitab ka Hemgenixiga ravitud patsientide registri andmed, et uurida ravimi pikaajalist ohutust ja efektiivsust.

Mis meetmed võetakse, et tagada Hemgenixi ohutu ja efektiivne kasutamine?

Hemgenixi turustaja annab patsientidele või nende hooldajatele ja tervishoiutöötajatele teabematerjalid, mis sisaldavad teavet ravimi pikaajalise toime ja ohutuse kasulikkuse, riskide ja määramatuste kohta. Patsientidele tuleb anda ka patsiendikaart, et teavitada tervishoiutöötajaid Hemgenixi kasutamisest patsiendi raviks.

Hemgenixi ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Hemgenixi kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Hemgenixi kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Hemgenixi kohta

Lisateave Hemgenixi kohta on ameti veebilehel:

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