



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

20. toukokuuta 2022
EMA/267926/2022
EMA/H/C/005547

HemAryo-valmistetta (eptakogi alfa [aktivoitu]) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

UGA Biopharma peruutti HemAryo-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Lääkevalmistetta oli tarkoitus käyttää verenvuototapahtumien hoitoon ja verenvuodon ehkäisyyn kirurgisten toimenpiteiden jälkeen potilailla, joilla on hyytymishäiriöitä.

Yhtiö peruutti hakemuksen 6. toukokuuta 2022.

Mitä HemAryo on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

HemAryo kehitettiin lääkkeeksi, jolla oli määrä hoitaa verenvuototapahtumia ja ehkäistä verenvuotoa kirurgisten tai invasiivisten toimenpiteiden jälkeen potilailla, joilla on

- synnynnäinen hemofilia (verenvuototauti) ja joille on kehittynyt tai todennäköisesti kehittyy inhibiittoreita (vasta-aineita) VIII- tai IX-hyytymistekijälle (veren hyytymiseen osallistuville proteiineille)
- hankinnainen hemofilia (tauti, jonka aiheuttaa inhibiittorien kehittyminen VIII-hyytymistekijälle)
- synnynnäinen hyytymistekijä VII:n vaje
- Glanzmannin tauti (trombastenia, joka on harvinainen verenvuotosairaus) silloin, kun tautia ei voida hoitaa verihiutalesiirron avulla (verihiutaleet ovat veren osa, joka edesauttaa sen hyytymistä).

HemAryon vaikuttava aine on eptakogi alfa, ja sitä oli määrä olla saatavana jauheena ja liuottimena, joista valmistetaan laskimoon annettava liuos.

HemAryo kehitettiin biologisesti samankaltaiseksi lääkevalmisteksi. Tämä tarkoittaa sitä, että HemAryo-valmisteen oli tarkoitus olla hyvin samanlainen kuin toinen biologinen lääke (viitevalmiste), jolla jo on myyntilupa EU:n alueella. HemAryon viitevalmiste on NovoSeven. Lue lisää [biologisesti samankaltaisista lääkevalmisteista](#).

Miten HemAryo vaikuttaa?

HemAryon vaikuttava aine eptakogi alfa on lähes identtinen hyytymistekijä VII -nimisen ihmisproteiinin kanssa. Eptakogi alfa toimii samalla tavoin kuin hyytymistekijä VII. Kehossa hyytymistekijä VII

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



osallistuu veren hyytymiseen. Se aktivoi toista tekijää, hyytymistekijä X:ää, joka aloittaa hyytymisprosessin. Aktivoimalla hyytymistekijä X:ää eptakogi alfa saa verenvuodon väliaikaisesti hallintaan.

Koska VII-tekijä vaikuttaa VIII- ja IX-tekijöistä riippumatta suoraan X-tekijään, eptakogi alfaa voidaan käyttää hemofiliapotilailla, joille on kehittynyt inhibiittoreita tekijää VIII tai IX vastaan, ja korvaamaan puuttuva VII-tekijä potilailla, joilla on VII-tekijän vaje.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tuloksia laboratoriotutkimuksista, joissa HemAryota verrattiin viitevalmisteeseen sen tutkimiseksi, onko HemAryon vaikuttava aine rakenteeltaan, puhtaudeltaan ja biologiselta aktiivisuudeltaan hyvin samankaltainen kuin NovoSevenin.

Lisäksi esitettiin tulokset kahdesta kliinisestä tutkimuksesta, joiden tarkoituksena oli osoittaa, että HemAryo tuotti vastaavan pitoisuuden vaikuttavaa ainetta elimistössä kuin viitevalmiste ja että sen teho voisi olla verrattavissa NovoSevenin tehoon.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut lääkeyhtiön alkuvaiheessa toimittamat tiedot ja laatinut kysymyksiä yhtiölle. Yhtiö ei ollut vielä vastannut näihin kysymyksiin, kun se peruutti hakemuksen.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Virasto suhtautui saamiensa tietojen tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että HemAryo-valmistetta ei olisi voitu hyväksyä verenvuototapahtumien hoitoon ja verenvuodon ehkäisyyn kirurgisen toimenpiteen jälkeen potilailla, joilla on hyytymishäiriöitä.

Virastolla oli lääkkeen valmistustapaan liittyviä huolenaiheita, jotka aikaansaivat epävarmuutta lääkkeen laadusta. Virastolla oli huolenaiheita myös HemAryo-valmistetta ja viitevalmistetta vertailevien tutkimusten tutkimussuunnitelmasta ja toteuttamisesta.

Siksi virasto ei hakemuksen peruuttamisen ajankohtana pystynyt tekemään päätelmiä siitä, onko HemAryo hyvin samankaltainen kuin viitevalmiste, ja se katsoi, ettei lääkevalmistetta olisi voitu hyväksyä yhtiön toimittamien tietojen perusteella.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa peruuttavansa hakemuksen merkittävien valmistukseen liittyvien ongelmien vuoksi.

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on klinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että kaikki HemAryo-valmisteen kliniset tutkimukset oli saatettu päätökseen.