



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranakogeenidetsaparvoveekki*)

Yleistiedot Hemgenix-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Hemgenix on ja mihin sitä käytetään?

Hemgenix on lääke aikuisten vaikean ja kohtalaisen vaikean B-hemofilian hoitoon. Tätä perinnöllistä verenvuotosairautta aiheuttaa hyytymistekijä IX:n puute. Hyytymistekijä IX on proteiini, jota tarvitaan verihyytymien muodostumiseen verenvuodon tyrehtyttämiseksi. Lääkevalmistetta annetaan aikuisille, joille ei kehity hyytymistekijä IX:n estäjiä (elimistön luonnollisen puolustusjärjestelmän tuottamia proteiineja).

B-hemofilia on harvinainen sairaus, ja Hemgenix nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 21. maaliskuuta 2018. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix-valmisteen vaikuttava aine on etranakogeenidetsaparvoveekki, ja se on pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävä geenihoidovalmiste. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla geenejä elimistöön.

Miten Hemgenixiä käytetään?

Lääkevalmiste on reseptilääke. Hoito on aloitettava sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta hemofiasta ja/tai verenvuotosairauksista. Hoidon on tapahduttava paikassa, jossa on valmiudet hoitaa nopeasti infuusiosta mahdollisesti aiheutuvia reaktioita.

Hemgenix annetaan kerran yhtenä 1–2 tuntia kestäväenä infuusiona (tiputuksena) laskimoon. Annos määräytyy potilaan painon mukaan.

Ennen infuusion antamista potilaalle tehdään useita testejä, kuten maksan toimintaa koskevia tutkimuksia ja tutkimuksia sen selvittämiseksi, onko potilaalla hyytymistekijä IX:n estäjiä. Kestää useita viikkoja ennen kuin Hemgenixin vaikutukset on nähtävissä. Potilaita seurataankin tiiviisti vähintään kolmen kuukauden ajan infuusion antamisen jälkeen, jotta voidaan päättää, onko hyytymistekijä IX:n muu korvaushoito tarpeen jatkossa.

Lisätietoja Hemgenixin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.



Miten Hemgenix vaikuttaa?

B-hemofiliaa sairastavilla potilailla on mutaatioita (muutoksia) geenissä, jota elimistö tarvitsee valmistakseen verta hyödyttävää proteiinia, hyytymistekijä IX:ää. Mutaation seurauksena hyytymistekijä IX toimii vain osittain tai ei lainkaan.

Hemgenix-valmisteen vaikuttava aine etranakogeenidetsaparvoveekki perustuu virukseen, joka sisältää kopioita hyytymistekijä IX:ää valmistavasta geenistä. Potilaalle annettu virus kuljettaa hyytymistekijä IX -geenin maksasoluihin, jolloin ne voivat tuottaa puuttuvaa hyytymistekijä IX:ää ja siten vähentää verenvuototapahtumia.

Lääkevalmistuksessa käytetty virustyyppi (AA-virus) ei aiheuta sairautta ihmisessä.

Mitä hyötyä Hemgenixistä on havaittu tutkimuksissa?

Tutkimuksessa, johon osallistui 54 vaikeaa tai kohtalaisen vaikeaa B-hemofiliaa sairastavaa aikuista miespotilasta, Hemgenix vähensi verenvuototapahtumia tehokkaammin kuin hyytymistekijä IX:n korvaushoito. Tutkimuksessa verrattiin niiden verenvuototapahtumien määrää, joita potilailla oli ollut kuusi kuukautta kestäneen hyytymistekijä IX:n korvaushoidon aikana ennen Hemgenix-hoitoa, siihen määrään tapahtumia, joita oli esiintynyt vuoden kuluessa sen jälkeen, kun hyytymistekijä IX:n pitoisuudet olivat vakiintuneet Hemgenix-hoidolla. Tutkimuksen tiedot osoittivat, että Hemgenix vähensi verenvuotojen määrää 4,2 kerrasta 1,5 kertaan vuodessa. Tutkimuksessa havaittiin myös, että Hemgenix lisäsi tehokkaasti hyytymistekijä IX:n pitoisuutta. Potilaista 96 prosenttia (52 potilasta 54:stä) ei tarvinnut hyytymistekijä IX:n korvaushoitoa kahteen vuoteen Hemgenix-infuusion jälkeen.

Mitä riskejä Hemgenixiin liittyy?

Hemgenixin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin 1 potilaalle 10:stä) ovat päänsärky, tiettyjen maksaentsyymien pitoisuuden kokoaminen ja flunssan kaltaiset oireet.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Hemgenixin haittavaikutuksista.

Hemgenix-valmistetta ei saa antaa henkilöille, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) jollekin sen valmistusaineelle, joilla on aktiivinen tai krooninen (pitkäaikainen) infektio, joka ei ole lääkityksellä hallinnassa, tai joilla on edennyt maksafibroosi tai maksakirroosi (maksan arpeutuminen).

Miksi Hemgenix on hyväksytty EU:ssa?

Myyntiluvan myöntämishetkellä vaikeaa B-hemofiliaa sairastavat potilaat tarvitsivat elinikäistä hyytymistekijä IX:n korvaushoitoa. Yhtenä infuusiona annettu Hemgenix ehkäisi tehokkaasti verenvuotoa vähintään kahden vuoden ajan, ja potilaat pystyivät lopettamaan hyytymistekijä IX:n korvaushoidon. Tämä vähensi hoidon kuormittavuutta. Hemgenixistä saatavan hyödyn kestoon liittyy joitakin epävarmuustekijöitä, koska päätutkimuksessa arvioitiin vastetta pienellä määrällä potilaita kahden vuoden ajan. Vaikka pitkän aikavälin turvallisuustietoja oli vähän, turvallisuusprofiilia pidettiin hyväksyttävänä.

Hemgenix sai ns. ehdollisen myyntiluvan. Tämä tarkoittaa sitä, että Euroopan lääkevirasto katsoi, että Hemgenixistä saatava hyöty on sen riskejä suurempi, mutta yhtiön on toimitettava lisää näyttöä myyntiluvan myöntämisen jälkeen.

Ehdollinen myyntilupa myönnetään tavanomaista vähäisempien tietojen perusteella. Se myönnetään sellaisten vakavien sairauksien hoitoon tarkoitetuille lääkkeille, joihin on vain vähän hoitovaihtoehtoja, ja kun varhaisemman markkinoille saattamisen hyöty on suurempi kuin käyttöön liittyvät riskit sinä

aikana, kun lääkkeitä odotetaan lisänäyttöä. Euroopan lääkevirasto arvioi mahdollisesti saatavat uudet tiedot vuosittain, kunnes tiedot ovat kattavat, ja päivittää tätä yhteenvetoa tarvittaessa.

Mitä tietoja lääkevalmisteesta odotetaan vielä saatavan?

Koska Hemgenixille on annettu ehdollinen myyntilupa, lääkettä markkinoiva yhtiö toimittaa lisätietoja meneillään olevista tutkimuksista, jotka koskevat lääkkeen pitkäaikaista turvallisuutta ja tehoa, kuten hoitovasteen kestoa, potilailla, joilla on vaikea tai kohtalaisen vaikea B-hemofilia. Yhtiö toimittaa myös tietoa rekisteristä, jossa on tietoa Hemgenix-hoitoa saaneista potilaista, sen pitkäaikaisen turvallisuuden ja tehon tutkimista varten.

Miten voidaan varmistaa Hemgenixin turvallinen ja tehokas käyttö?

Hemgenix-valmistetta markkinoiva yhtiö toimittaa potilaille tai heidän hoitajilleen ja terveydenhuollon ammattilaisille perehdytysmateriaalia, joka sisältää tietoa lääkkeen pitkäaikaisvaikutuksiin ja turvallisuuteen liittyvistä hyödyistä, riskeistä ja epävarmuustekijöistä. Potilaille on annettava myös potilaskortti, jossa on tietoa terveydenhuollon ammattilaisille siitä, että potilas on saanut Hemgenix-hoitoa.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Hemgenixin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Hemgenixin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Hemgenixistä ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Hemgenix-valmisteesta

Lisää tietoa Hemgenixistä on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix