



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/446610/2024
EMA/H/C/006240

Hympavzi (*marstasimabi*)

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

Mitä Hympavzi on ja mihin sitä käytetään?

Hympavzi on lääkevalmiste, jota käytetään verenvuototapahtumien ehkäisemiseen 12-vuotiailla ja sitä vanhemmilla potilailla, joiden paino on vähintään 35 kg ja joilla on vaikea hemofilia A tai B.

Hemofilia A ja B ovat perinnöllisiä verenvuotosairauksia, joita aiheuttaa hyytymistekijä VIII:n (hemofilia A) tai hyytymistekijä IX:n (hemofilia B) puute. Hyytymistekijät ovat proteiineja, joita tarvitaan veren hyytymiseen ja verenvuodon tyrehtymiseen.

Hympavzia annetaan potilaille, joille ei kehity hyytymistekijän VIII:n tai IX:n inhibiittoreita (elimistön luonnollisen puolustusjärjestelmän tuottamia proteiineja).

Hympavzin vaikuttava aine on marstasimabi.

Miten Hympavzia käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoito on aloitettava, kun potilaalla ei ole verenvuotoa, hemofilian hoitoon perehtyneen terveydenhuollon ammattilaisen valvonnassa.

Hympavzia annetaan injektiona ihon alle kerran viikossa esitätetyn ruiskun tai kynän avulla. Potilaat tai heitä hoitavat henkilöt voivat injektoida lääkkeen itse saatuaan siihen asianmukaisen opastuksen.

Ennen Hympavzin aloittamista potilaiden on lopetettava hyytymistekijöillä annettava ennaltaehkäisevä hoito (tekijän VIII tai IX konsentraatit).

Lisätietoja Hympavzin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Hympavzi vaikuttaa?

Keho voi käyttää veren hyytymisprosessia ilman hyytymistekijä VIII:aa tai IX:ää. Tämä prosessi (eli kudostekijäreitti) voidaan kuitenkin estää nopeasti kudostekijäreitin estäjäksi (TFPI) kutsutulla proteiinilla. Hympavzi on monoklonaalinen vasta-aine (proteiinityyppi), joka on suunniteltu tunnistamaan TFPI ja kiinnittymään siihen. Kiinnittymällä TFPI:hin Hympavzi estää sen toiminnan ja mahdollistaa veren hyytymisen kudostekijäreitin kautta A- tai B-hemofiliaa sairastavilla potilailla.

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



Mitä hyötyä Hymfavzista on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa, joka tehtiin vähintään 12-vuotiailla pojilla ja miehillä, joilla oli vaikea hemofilia A tai B eikä inhibiittoreita, todettiin, että Hymfavzi on vähintään yhtä tehokas kuin rutiininomainen ennaltaehkäisevä hoito hoidettujen verenvuotojen määrän vähentämisessä.

Tutkimukseen osallistui 116 aikuista ja nuorta, jotka saivat aiemmin tekijöitä VIII tai IX korvaavaa hoitoa joko tarvittaessa tai rutiininomaisena ennalta ehkäisevänä hoitona. Tutkimuksessa verrattiin potilaiden verenvuototapahtumien määrää, joita heillä oli kuuden kuukauden ajan ennen Hymfavzi-hoidon aloittamista, potilaiden verenvuototapahtumien määrään vuoden ajan Hymfavzin aloittamisen jälkeen.

Aikaisemmin rutiininomaista ennalta ehkäisevää hoitoa saaneiden 83 potilaan ryhmässä Hymfavzi vähensi hoitoa tarvitsevien verenvuotojen määrän keskimäärin kahdeksasta viiteen vuodessa.

Hemofilia A:ta sairastavilla potilailla verenvuotojen määrä vuodessa oli rutiininomaista ennalta ehkäisevää hoitoa saaneilla potilailla keskimäärin noin yhdeksän, kun Hymfavzia saaneilla potilailla vastaava määrä oli viisi. Hemofilia B:tä sairastavilla potilailla vastaava määrä oli noin kolme rutiininomaisen ennalta ehkäisevän hoidon yhteydessä verrattuna noin viiteen Hymfavzi-hoidon yhteydessä. Hymfavzin pitkäaikaisessa jatkotutkimuksessa Hemofilia B:tä sairastavien potilaiden määrä väheni entisestään.

Mitä riskejä Hymfavziin liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Hymfavzin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Hymfavzin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin 1 potilaalle 10:stä) ovat injektiokohdan reaktiot.

Miksi Hymfavzi on hyväksytty EU:ssa?

Hyväksymisen ajankohtana useimmat hoitovaihtoehdot potilaille, joilla on vaikea hemofilia A tai B, tarkoittivat infuusiona laskimoon annettavaa tekijöitä VIII tai IX korvaavaa hoitoa. Viikoittain ihon alle injektiona annetun Hymfavzin osoitettiin vähentävän verenvuotojen määrää vähintään yhtä tehokkaasti kuin rutiininomainen ennalta ehkäisevä hoito. Päätutkimuksessa oli mukana vain vähän hemofilia B:tä sairastavia potilaita, erityisesti nuoria. Pitkäaikaisesta jatkotutkimuksesta saadut tiedot kuitenkin vahvistivat Hymfavzin tehon hemofilia B:tä sairastavilla potilailla. Hymfavzin haittavaikutukset ovat lieviä, eikä erityistä turvallisuuteen liittyvää huolenaihetta havaittu. Päätutkimukseen osallistuneiden potilaiden määrä oli kuitenkin vähäinen, joten turvallisuudesta edellytetään lisätietoja.

Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Hymfavzi-valmisteesta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Hymfavzin turvallinen ja tehokas käyttö?

Hymfavzia markkinoiva yhtiö tekee tutkimuksen, jossa arvioidaan tarkemmin Hymfavzin turvallisuutta hemofilia A:ta ja B:tä sairastavilla potilailla ja joka perustuu lääkkeellä hoidettujen potilaiden rekisteritietoihin.

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

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

Muita tietoja Hympavzista

Lisää tietoa Hympavzista on viraston verkkosivustolla ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Hympavzi.