



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

20 mai 2022
EMA/267926/2022
EMA/H/C/005547

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour HemAryo [eptacog alfa (activé)]

UGA Biopharma a retiré sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour HemAryo, destiné à traiter les épisodes hémorragiques et à prévenir les saignements après des interventions chirurgicales chez les patients présentant des troubles de la coagulation.

La société a retiré sa demande le 6 mai 2022.

Qu'est-ce que HemAryo et dans quel cas devait-il être utilisé?

HemAryo a été développé en tant que médicament destiné à traiter les épisodes hémorragiques et à prévenir les saignements après des interventions chirurgicales ou des procédures invasives chez les patients présentant:

- une hémophilie congénitale (un trouble hémorragique présent dès la naissance), qui ont développé ou devraient développer des «inhibiteurs» (anticorps) contre le facteur VIII ou IX (protéines intervenant dans la coagulation du sang);
- une hémophilie acquise (une maladie hémorragique provoquée par le développement d'inhibiteurs du facteur VIII);
- une déficience congénitale en facteur VII;
- une thrombasthénie de Glanzmann (un trouble hémorragique rare), dont le traitement ne peut consister en une transfusion de plaquettes (des composants qui aident le sang à coaguler).

HemAryo contient la substance active eptacog alfa et devait être disponible sous forme de poudre et de solvant à reconstituer en solution pour injection dans une veine.

HemAryo a été développé en tant que médicament «biosimilaire». Cela signifie que HemAryo devait être fortement similaire à un autre médicament biologique déjà autorisé dans l'UE (le «médicament de référence»). Le médicament de référence pour HemAryo est NovoSeven. Pour de plus amples informations sur les médicaments biosimilaires, voir [ici](#).

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



Comment HemAryo agit-il?

La substance active de HemAryo, l'éptacog alfa, est pratiquement identique à une protéine humaine appelée facteur VII. L'éptacog alfa agit de la même façon que le facteur VII. Dans l'organisme, le facteur VII est impliqué dans la coagulation du sang. Il active un autre facteur appelé facteur X, qui initie le processus de coagulation. En activant le facteur X, l'éptacog alfa est capable d'assurer un contrôle temporaire du trouble hémorragique.

Étant donné que le facteur VII agit directement sur le facteur X, indépendamment des facteurs VIII et IX, l'éptacog alfa peut être utilisé chez les patients atteints d'hémophilie qui ont développé des inhibiteurs du facteur VIII ou IX, et pour remplacer le facteur VII manquant chez les patients présentant une déficience en facteur VII.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a présenté les résultats d'études de laboratoire comparant HemAryo au médicament de référence, afin de déterminer si la substance active de HemAryo est hautement similaire à celle de NovoSeven en termes de structure, de pureté et d'activité biologique.

Les résultats de deux études cliniques ont également été présentés pour démontrer que HemAryo produit des taux de substance active similaires à ceux du médicament de référence dans l'organisme, et que son efficacité pourrait être comparable à celle de NovoSeven.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée après que l'Agence européenne des médicaments eut évalué les informations initiales présentées par la société et préparé des questions à son intention. Au moment du retrait, la société n'avait pas encore répondu à ces questions.

Quelle était la recommandation de l'Agence à ce stade?

Sur la base de l'examen des données, au moment du retrait, l'Agence avait des réserves et estimait à ce stade que HemAryo n'aurait pas pu être autorisé pour le traitement des épisodes hémorragiques et pour la prévention des saignements après une intervention chirurgicale chez les patients présentant des troubles de la coagulation.

L'Agence avait des réserves quant à la manière dont le médicament était produit, ce qui entraînait des incertitudes quant à sa qualité. L'Agence avait également des réserves quant à la conception et à la conduite des études comparant HemAryo au médicament de référence.

Par conséquent, au moment du retrait de la demande, l'Agence n'était pas en mesure de tirer des conclusions sur la question de savoir si HemAryo est hautement similaire au médicament de référence et a conclu que le médicament n'aurait pas pu être autorisé sur la base des données présentées par la société.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa [lettre](#) notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a indiqué qu'elle retirait sa demande en raison de problèmes de fabrication majeurs.

Ce retrait a-t-il des conséquences pour les patients participant à des essais cliniques?

La société a informé l'Agence que tous les essais cliniques de HemAryo étaient achevés.