



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

Hemgenix (etranacogene dezaparvovec)

Aperçu de Hemgenix et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Hemgenix et dans quel cas est-il utilisé?

Hemgenix est un médicament indiqué dans le traitement des adultes atteints d'hémophilie B sévère et modérément sévère, un trouble hémorragique héréditaire dû à un déficit en facteur IX (une protéine nécessaire à la production de caillots sanguins pour arrêter les saignements). Il est utilisé chez des adultes qui n'ont pas développé d'inhibiteurs (protéines produites par les défenses naturelles du corps) contre le facteur IX.

L'hémophilie B est rare et Hemgenix a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 21 mars 2018. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:

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

Hemgenix, qui contient la substance active etranacogene dezaparvovec, est un type de médicament de thérapie innovante appelé «produit de thérapie génique». Il s'agit d'un type de médicament qui agit en apportant des gènes dans le corps.

Comment Hemgenix est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être initié sous la supervision d'un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie et/ou des troubles hémorragiques, dans un établissement équipé pour traiter rapidement les réactions liées à la perfusion.

Hemgenix est administré une fois, en une seule perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine, d'une durée d'une à deux heures. La dose dépend du poids corporel du patient.

Avant de recevoir la perfusion, le patient devra se soumettre à un certain nombre de tests, y compris des tests pour vérifier son état de santé hépatique et s'il présente des inhibiteurs du facteur IX. Étant donné qu'il faudra plusieurs semaines avant que Hemgenix ne présente d'effets, les patients feront l'objet d'une étroite surveillance pendant au moins trois mois après la perfusion afin de décider s'ils ont besoin d'un traitement supplémentaire par un traitement substitutif par facteur IX.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Hemgenix, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.



Comment Hemgenix agit-il?

Les patients atteints d'hémophilie B présentent des mutations (modifications) d'un gène dont l'organisme a besoin pour fabriquer la protéine facteur IX de coagulation, ce qui entraîne un manque partiel ou total d'activité de cette protéine.

La substance active de Hemgenix, l'etranacogene dezaparvovec, est basée sur un virus qui contient des copies du gène responsable de la production du facteur IX. Lorsqu'elle est administrée au patient, le virus transporte le gène du facteur IX dans les cellules du foie, ce qui leur permet de produire le facteur IX manquant et donc de limiter les épisodes hémorragiques.

Le type de virus utilisé dans ce médicament (virus adéno-associé) ne provoque pas de maladie chez l'homme.

Quels sont les bénéfices de Hemgenix démontrés au cours des études?

Une étude portant sur 54 patients adultes de sexe masculin atteints d'hémophilie B sévère ou modérément sévère a montré que Hemgenix était plus efficace dans la réduction des événements hémorragiques que le traitement substitutif par facteur IX. Dans cette étude, le nombre de patients ayant présenté des épisodes hémorragiques avec un traitement substitutif par facteur IX au cours d'une période de 6 mois avant de recevoir Hemgenix a été comparé avec le nombre de patients ayant présenté des épisodes hémorragiques sur une période d'un an après avoir obtenu des taux stables de facteur IX sous Hemgenix. Les données de l'étude ont montré que Hemgenix permettait de réduire le taux de saignements annualisés de 4,2 à 1,5 saignement par an. L'étude a également montré que Hemgenix était efficace pour augmenter les taux de facteur IX, 96 % des patients (52 sur 54) n'ayant plus besoin d'un traitement substitutif par facteur IX pendant une durée allant jusqu'à deux ans après la perfusion.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Hemgenix?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Hemgenix (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les maux de tête, l'augmentation des taux de certaines enzymes hépatiques et des symptômes grippaux.

Pour une description complète des effets indésirables observés sous Hemgenix, voir la notice.

Hemgenix ne doit pas être administré aux personnes qui présentent une hypersensibilité (allergie) à l'un de ses composants, qui présentent une infection active ou chronique (de longue durée) non contrôlée par des médicaments, ou qui présentent une fibrose hépatique avancée ou une cirrhose du foie (tissu cicatriciel au niveau du foie).

Pourquoi Hemgenix est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'approbation, les patients atteints d'hémophilie B sévère avaient besoin d'un traitement à vie avec un traitement substitutif par facteur IX. Hemgenix, administré en perfusion unique, s'est avéré efficace pour prévenir les saignements sur une période d'au moins deux ans, permettant ainsi aux patients d'interrompre le traitement par un traitement substitutif par facteur IX, ce qui réduit la charge causée par le traitement de la maladie. Des incertitudes subsistent quant à la durée pendant laquelle les bénéfices de Hemgenix sont observés, étant donné que dans l'étude principale, la réponse a été évaluée chez un petit nombre de patients pendant une période allant jusqu'à deux ans. Bien que les données de sécurité à long terme soient limitées, le profil de sécurité a été jugé acceptable.

Une «autorisation conditionnelle» a été délivrée pour Hemgenix. Cela signifie que l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Hemgenix sont supérieurs à ses risques, mais que la société devra fournir des preuves supplémentaires après l'autorisation.

L'autorisation conditionnelle est accordée sur la base de données moins complètes que celles qui sont normalement requises. Elle est accordée pour les médicaments qui répondent à un besoin médical non satisfait en matière de traitement de maladies graves et lorsque les bénéfices de la mise à disposition anticipée de ces médicaments sont supérieurs aux risques associés à leur utilisation, dans l'attente de preuves supplémentaires. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible jusqu'à ce que les données deviennent exhaustives et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Hemgenix?

Une autorisation conditionnelle ayant été délivrée pour Hemgenix, la société qui commercialise ce médicament fournira des données supplémentaires provenant d'études en cours sur la sécurité et l'efficacité à long terme du médicament, y compris la durée de la réponse, chez les patients atteints d'hémophilie B sévère à modérément sévère. La société fournira également des données provenant d'un registre de patients traités par Hemgenix pour étudier sa sécurité et son efficacité à long terme.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Hemgenix?

La société qui commercialise Hemgenix fournira aux patients ou à leurs soignants ainsi qu'aux professionnels de santé du matériel éducatif contenant des informations sur les bénéfices, les risques et les incertitudes concernant les effets à long terme et la sécurité du médicament. Les patients doivent également recevoir une carte patient pour informer les professionnels de santé qu'ils ont été traités par Hemgenix.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Hemgenix ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Hemgenix sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Hemgenix sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Hemgenix:

Des amples informations sur Hemgenix sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix