



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranakogen dezaparvovek*)

Pregled informacija o lijeku Hemgenix i zašto je odobren u EU-u

Što je Hemgenix i za što se koristi?

Hemgenix je lijek koji se koristi za liječenje odraslih osoba s teškom i umjereno teškom hemofilijom B, nasljednim poremećajem krvarenja koji je uzrokovan nedostatkom faktora IX (proteina potrebnog za stvaranje krvnih ugrušaka radi zaustavljanja krvarenja). Koristi se u odraslih osoba koje nisu razvile inhibitore (proteine koje proizvodi prirodni obrambeni sustav tijela) protiv faktora IX.

Hemofilija B rijetka je bolest, a lijek Hemgenix dobio je status „lijeka za rijetku bolest“

21. ožujka 2018. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

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

Hemgenix sadrži djelatnu tvar etranakogen dezaparvovek i pripada skupini lijekova za naprednu terapiju koji se nazivaju „lijekovi za gensku terapiju“. Riječ je o vrsti lijekova koja djeluje unosom gena u tijelo.

Kako se Hemgenix primjenjuje?

Lijek se izdaje samo na recept. Liječenje se mora započeti pod nadzorom liječnika s iskustvom u liječenju hemofilije i/ili poremećaja krvarenja u ustanovi opremljenoj za brzo zbrinjavanje reakcija na infuziju.

Hemgenix se daje jednokratno, i to infuzijom (ukapavanjem) u venu u trajanju od jednog do dva sata. Doza lijeka ovisi o tjelesnoj težini bolesnika.

Prije primanja infuzije bolesnik treba obaviti niz testova, uključujući testove za provjeru zdravlja jetre i prisutnosti inhibitora faktora IX. Budući da su učinci lijeka Hemgenix vidljivi tek nakon nekoliko tjedana, bolesnike treba pomno pratiti tijekom najmanje tri mjeseca nakon infuzije kako bi se odlučilo je li im potrebno dodatno liječenje nadomjesnom terapijom faktorom IX.

Za više informacija o primjeni lijeka Hemgenix pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

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



Kako djeluje Hemgenix?

Bolesnici s hemofilijom B imaju mutacije (promjene) u genu koji je tijelu potreban za stvaranje proteina za zgrušavanje koji se naziva faktor IX, a rezultat toga je djelomičan ili potpuni izostanak njegove aktivnosti.

Djelatna tvar lijeka Hemgenix, etranakogen dezaparvovek, temelji se na virusu koji sadrži kopije gena odgovornog za proizvodnju faktora IX. Kad bolesnik primi lijek, virus će prenijeti gen faktora IX u stanice jetre, što će im omogućiti stvaranje faktora IX koji nedostaje i time ograničiti epizode krvarenja.

Vrsta virusa koja je upotrijebljena u ovom lijeku (adeno-pridruženi virus) ne uzrokuje bolest u ljudi.

Koje su koristi od lijeka Hemgenix utvrđene u ispitivanjima?

U ispitivanju provedenom na 54 odrasla muškarca s teškom ili umjereno teškom hemofilijom B utvrđeno je da je lijek Hemgenix učinkovitiji u smanjenju epizoda krvarenja nego nadomjesna terapija faktorom IX. U ispitivanju je uspoređen broj epizoda krvarenja koje su bolesnici imali uz nadomjesnu terapiju faktorom IX tijekom šestomjesečnog razdoblja prije primanja lijeka Hemgenix s brojem epizoda tijekom jednogodišnjeg razdoblja nakon postizanja stabilnih razina faktora IX primjenom lijeka Hemgenix. Podatci iz ispitivanja pokazali su da se primjenom lijeka Hemgenix smanjila godišnja stopa krvarenja s 4,2 na 1,5 krvarenja godišnje. Ispitivanjem je također utvrđeno da je lijek Hemgenix učinkovit u pogledu povećavanja razine faktora IX s obzirom na to da 96 % bolesnika (52 od 54) više nije trebalo nadomjesnu terapiju faktorom IX do dvije godine nakon infuzije.

Koji su rizici povezani s lijekom Hemgenix?

Najčešće nuspojave lijeka Hemgenix (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu glavobolja, povišene razine određenih jetrenih enzima i simptomi slični gripi.

Potpuni popis nuspojava povezanih s lijekom Hemgenix potražite u uputi o lijeku.

Hemgenix se ne smije davati osobama koje su preosjetljive (alergične) na bilo koji od njegovih sastojaka, koje imaju aktivnu ili kroničnu (dugotrajnu) infekciju koja nije kontrolirana lijekovima ili koje imaju uznapredovalu fibrozu jetre ili cirozu jetre (ožiljke na jetri).

Zašto je lijek Hemgenix odobren u EU-u?

U trenutku odobrenja bolesnicima s teškom hemofilijom B bilo je potrebno cjeloživotno liječenje nadomjesnom terapijom faktorom IX. Lijek Hemgenix primijenjen kao jednokratna infuzija bio je učinkovit u sprječavanju krvarenja tijekom razdoblja od najmanje dvije godine, što je bolesnicima omogućilo prekid nadomjesne terapije faktorom IX, čime se smanjuje opterećenje uzrokovano liječenjem bolesti. Postoji određena neizvjesnost u pogledu trajanja koristi od lijeka Hemgenix budući da se u glavnom ispitivanju procjenjivao odgovor na liječenje u malog broja bolesnika tijekom razdoblja do dvije godine. Iako su podatci o dugoročnoj sigurnosti ograničeni, smatra se da je profil u pogledu sigurnosti primjene prihvatljiv.

Za lijek Hemgenix izdano je „uvjetno odobrenje”. To znači da je Europska agencija za lijekove zaključila da koristi od lijeka Hemgenix nadmašuju s njim povezane rizike, ali da će tvrtka morati dostaviti dodatne dokaze nakon izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Uvjetno odobrenje izdaje se na temelju manje opsežnih podataka nego što se obično zahtijeva. Dodjeljuje se za lijekove koji ispunjavaju nezadovoljenu medicinsku potrebu za liječenjem teških bolesti i kada koristi od njihova ranijeg stavljanja na raspolaganje nadmašuju sve rizike povezane s

primjenom lijekova dok se čekaju dodatni dokazi. Europska agencija za lijekove svake će godine procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne dok podatci ne budu potpuni te će se ovaj pregled informacija po potrebi ažurirati.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Hemgenix?

Budući da je lijek Hemgenix dobio uvjetno odobrenje, tvrtka koja lijek stavlja u promet dostavit će dodatne podatke iz ispitivanja koja su u tijeku o dugoročnoj sigurnosti i učinkovitosti lijeka, uključujući trajanje odgovora, u bolesnika s teškom do umjereno teškom hemofilijom B. Tvrtka će dostaviti i podatke iz registra bolesnika koji primaju lijek Hemgenix kako bi se ispitala njegova dugoročna sigurnost i učinkovitost.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Hemgenix?

Tvrtka koja lijek Hemgenix stavlja u promet dostavit će bolesnicima ili njihovim njegovateljima i zdravstvenim radnicima materijale za obuku s informacijama o koristima, rizicima i neizvjesnosti u pogledu dugoročnih učinaka i sigurnosti lijeka. Bolesnici također moraju dobiti karticu za bolesnike kako bi zdravstveni radnici znali da su primili lijek Hemgenix.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Hemgenix također se nalaze u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Hemgenix kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Hemgenix pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Hemgenix

Više informacija o lijeku Hemgenix dostupno je na internetskim stranicama Agencije:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix