



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2022. május 20.
EMA/267926/2022
EMA/H/C/005547

A HemAryo-ra (alfa-eptakog (aktivált)) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

Az UGA Biopharma visszavonta a véralvadási zavarokkal küzdő betegeknél fellépő vérzéses epizódok kezelésére és a sebészeti eljárásokat követő vérzés megelőzésére szánt HemAryo-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2022. május 6-án vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer a HemAryo és milyen alkalmazásra szánták?

A HemAryo-t a vérzéses epizódok kezelésére, valamint a műtéti vagy invazív eljárásokat követő vérzés megelőzésére fejlesztették ki olyan betegeknél történő alkalmazásra, akik:

- veleszületett hemofiliában (születéstől fennálló vérzési rendellenesség) szenvednek, és szervezetükben a VIII-as vagy a IX-es faktorról (a véralvadásban szerepet játszó fehérjék) szemben „inhibitorok” (antitestek) termelődtek vagy várhatóan termelődni fognak;
- szerzett hemofiliában (a VIII-as faktorról szembeni inhibitorok képződése által okozott vérzéses megbetegedés) szenvednek;
- veleszületett VII-es faktor hiányban szenvednek;
- Glanzmann-féle trombaszténiában (egy ritka vérzéses rendellenesség) szenvednek, és vérlemezke-transzfúzióval (a véralvadást elősegítő összetevők) nem kezelhetők.

A HemAryo hatóanyaga az alfa-eptakog, és vénába adandó oldatos injekció készítésére szolgáló por és oldószer formájában lett volna kapható.

A HemAryo-t „használati biológiai gyógyszerként” fejlesztették ki. Ez azt jelenti, hogy a HemAryo-t egy, az Európai Unióban (EU) már engedélyezett biológiai gyógyszerhez (a „referencia-gyógyszer”) nagyon hasonlóknak szánták. A HemAryo referencia-gyógyszere a NovoSeven. A hasonló biológiai gyógyszerekkel kapcsolatban további információ [itt](#) található.

Hogyan fejti ki hatását a HemAryo?

A HemAryo hatóanyaga, az alfa-eptakog, majdnem megegyezik a VII-es faktornak nevezett humán proteinnel. Az alfa-eptakog ugyanúgy működik, mint a VII-es faktor. A szervezetben a VII-es faktor

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



részt vesz a véralvadásban. A X-es faktort aktiválja, amely beindítja a véralvadási folyamatot. A X-es faktor aktiválásával az alfa-eptakog ideiglenesen szabályozza a vérzési rendellenességet.

Mivel a VII-es faktor közvetlenül a X-es faktorra hat a VIII-as és a IX-es faktortól függetlenül, az alfa-eptakog alkalmazható azoknál a hemofiliás betegeknél, akiknek a szervezete inhibitorokat termel a VIII-as vagy a IX-es faktorra szemben, illetve a VII-es faktor hiányában szenvedő betegeknél a hiányzó VII-es faktor pótlására.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat a HemAryo-t a referencia-gyógyszerrel összehasonlító laboratóriumi vizsgálatok eredményeit nyújtotta be annak tanulmányozása céljából, hogy a HemAryo hatóanyaga nagyon hasonló-e a NovoSeven hatóanyagához a szerkezete, tisztasága és biológiai aktivitása tekintetében.

Két klinikai vizsgálat eredményeit is benyújtották annak igazolására, hogy a HemAryo hasonló hatóanyagszintet eredményez a szervezetben, mint a referencia-gyógyszer, és hatékonysága összehasonlítható a NovoSeven hatékonyságával.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott információt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a HemAryo alkalmazása nem engedélyezhető a véralvadási zavarral küzdő betegeknél a vérzéses epizódok kezelésére és a sebészeti eljárást követő vérzés megelőzésére.

Az Ügynökségnek aggályai merültek fel a gyógyszer előállításának módját illetően, ami bizonytalanságokat eredményezett a gyógyszer minőségével kapcsolatban. Az Ügynökségnek aggályai merültek fel a HemAryo-t a referencia-gyógyszerrel összehasonlító vizsgálatok megtervezésével és kivitelezésével kapcsolatban is.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség nem tudott következtetéseket levonni arra vonatkozóan, hogy a HemAryo nagyon hasonló-e a referencia-gyógyszerhez, és arra a következtetésre jutott, hogy a vállalat által benyújtott adatok alapján a gyógyszer forgalmazása nem engedélyezhető.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy a kérelmet lényeges gyártási problémák miatt vonta vissza.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a HemAryo valamennyi klinikai vizsgálata lezárult.