



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranakogén-dezaparvovek*)

A Hemgenix-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Hemgenix és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Hemgenix a súlyos és közepesen súlyos B-típusú hemofiliában szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazott gyógyszer. Ez egy örökletes vérzési rendellenesség, amelyet a IX-es faktor (a véralvadáshoz és a vérzés megállításához szükséges fehérje) hiánya okoz. Olyan felnőtteknél alkalmazzák, akiknél nem képződtek inhibitorok (a szervezet természetes védekező rendszere által termelt fehérjék) a IX-es faktorról szemben.

Mivel a B-típusú hemofília „ritkának” minősül, ezért a Hemgenix-et 2018. március 21-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található:

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

A Hemgenix hatóanyaga az etranakogén-dezaparvovek, és a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „génterápiás gyógyszernek” neveznek. Ez a gyógyszertípus azáltal fejti ki hatását, hogy géneket juttat a szervezetbe.

Hogyan kell alkalmazni a Hemgenix-et?

A gyógyszer csak receptre kapható. A kezelést a hemofília és/vagy a vérzési rendellenességek kezelésében jártas orvos felügyelete alatt kell megkezdeni egy olyan intézményben, amely megfelelően fel van szerelve az infúzióval összefüggésben fellépő reakciók gyors kezelésére.

A Hemgenix-et egy alkalommal, egy-két órán át tartó egyetlen intravénás infúzióban kell beadni. Az adag a beteg testtömegétől függ.

Az infúzió beadása előtt a betegen számos vizsgálatot el kell végezni, beleértve a máj egészségének, valamint annak a vizsgálatát, hogy a beteg rendelkezik-e inhibitorokkal a IX-es faktorról szemben. Mivel akár több hét is eltelhet a Hemgenix bármilyen hatásának a jelentkezéséig, a betegeket az infúzió után legalább 3 hónapig szoros megfigyelés alatt fogják tartani annak eldöntése érdekében, hogy szükségük van-e további, a IX-es faktort pótló kezelésre.

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



A Hemgenix alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Hemgenix?

A B-típusú hemofíliában szenvedő betegeknél mutációk (változások) vannak jelen egy olyan génben, amelyre a szervezetnek szüksége van a IX-es faktor nevű véralvadási fehérje előállításához, és ez a fehérje aktivitásának részleges vagy teljes hiányát eredményezi.

A Hemgenix hatóanyaga – az etranakogén-dezaparovok – egy olyan víruson alapul, amely a IX-es faktor előállításáért felelős gén példányait tartalmazza. Amikor beadják a betegnek, a vírus a májsejtekbe juttatja a IX-es faktor gént, ami lehetővé teszi, hogy azok előállítsák a hiányzó IX-es faktort, és ezáltal csökkenjenek a vérzéses epizódok.

A gyógyszerben alkalmazott vírustípus (adeno-asszociált vírus) nem okoz emberi megbetegedést.

Milyen előnyei voltak a Hemgenix alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy 54, súlyos vagy közepesen súlyos B-típusú hemofíliában szenvedő felnőtt férfi beteg bevonásával végzett vizsgálatban a Hemgenix hatékonyabbnak bizonyult a vérzéses események csökkentésében, mint a IX-es faktort pótló kezelés. A vizsgálat a IX-es faktort pótló kezelésben részesült betegeknél a Hemgenix-kezelést megelőző 6 hónapos időszakban tapasztalt vérzéses epizódok számát hasonlította össze a stabil IX-es faktorszint Hemgenix-kezeléssel történő elérését követő 1 éves időszakban tapasztalt számmal. A vizsgálatból származó adatok azt igazolták, hogy a Hemgenix évi 4,2-ről 1,5-re csökkentette a vérzések éves előfordulásának arányát. A vizsgálat azt is megállapította, hogy a Hemgenix hatékonyan növeli a IX-es faktor szintjét: a betegek 96%-ánál (54-ből 52-nél) az infúzió beadását követően akár 2 évig nem volt szükség IX-es faktort pótló kezelésre.

Milyen kockázatokkal jár a Hemgenix alkalmazása?

A Hemgenix leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, bizonyos májenzimek megemelkedett szintje és az influenzaszerű tünetek.

A Hemgenix alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Hemgenix nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiások) a készítmény bármely összetevőjével szemben, akik gyógyszerekkel nem kontrollálható, aktív vagy krónikus (hosszan tartó) fertőzésben, illetve előrehaladott májfibrózisban vagy májcirrózisban (a máj hegesedése) szenvednek.

Miért engedélyezték a Hemgenix forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában a súlyos B-típusú hemofíliában szenvedő betegeknél egész életen át tartó, IX-es faktort pótló kezelésre volt szükség. Az egyetlen infúzióban adott Hemgenix legalább 2 éven keresztül hatásos volt a vérzés megelőzésében, lehetővé téve ezáltal a betegek számára, hogy abbahagyják a IX-es faktort pótló kezelést, ezáltal csökkentve a betegség kezelése által okozott terhet. Van némi bizonytalanság azzal kapcsolatban, hogy mennyi ideig tart a Hemgenix előnyös hatása, mivel a fő vizsgálatban csak kis számú betegnél és legfeljebb 2 éven át értékelték a kezelésre adott választ. Bár a hosszú távú biztonságossági adatok korlátozottak voltak, a biztonságossági profil elfogadhatónak tartották.

A Hemgenix-et „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Hemgenix alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, de a vállalatnak az engedélyezést követően további bizonyítékokat kell benyújtania.

A feltételes engedélyt a szokásosan előírtaknál kevésbé átfogó adatok alapján adják ki olyan gyógyszerek esetében, amelyek egyes súlyos betegségek kezelésére vonatkozóan kielégítetlen gyógyszerigényt elégítenek ki, és amennyiben a rendelkezésre állás előnyei meghaladják a gyógyszer alkalmazásával járó kockázatokat addig is, amíg további bizonyítékokra kell várni. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt mindaddig, amíg az adatok átfogóvá nem válnak, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Hemgenix-szel kapcsolatban?

Mivel a Hemgenix forgalomba hozatalát feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték, a gyógyszert forgalmazó vállalat további adatokat fog benyújtani súlyos vagy közepesen súlyos B-típusú hemofíliában szenvedő betegeknek a gyógyszer hosszú távú biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó, folyamatban lévő vizsgálatokból, beleértve a válasz fennmaradásának időtartamát is. A vállalat a Hemgenix-szel kezelt betegek nyilvántartásából származó adatokat is be fog nyújtani a gyógyszer hosszú távú biztonságosságának és hatásosságának vizsgálatához.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Hemgenix biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Hemgenix-et forgalmazó vállalat oktatóanyagokat fog biztosítani a betegek, illetve gondozóik, valamint az egészségügyi szakemberek számára, amelyek a gyógyszer előnyeire, kockázataira, valamint a hosszú távú hatásaival és biztonságosságával kapcsolatos bizonytalanságokra vonatkozó információkat tartalmaz. A betegeknek betegkártyát is kell adni, amellyel tájékoztatni tudják az egészségügyi szakembereket arról, hogy Hemgenix-szel kezelték őket.

A Hemgenix biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Hemgenix alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Hemgenix alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Hemgenix-szel kapcsolatos egyéb információ

A Hemgenix-szel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix