



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per HemAryo [eptacog alfa (attivato)]

UGA Biopharma ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per HemAryo, per la cura degli episodi emorragici e per la prevenzione del sanguinamento in seguito a procedure chirurgiche in pazienti con disturbi della coagulazione.

La ditta ha ritirato la domanda il 6 maggio 2022.

Che cos'è HemAryo e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

HemAryo è stato sviluppato come medicinale per il trattamento degli episodi emorragici e per la prevenzione del sanguinamento dopo un intervento chirurgico o procedure invasive in pazienti con:

- emofilia congenita (un disturbo emorragico presente dalla nascita) quando hanno sviluppato o si prevede possano sviluppare degli "inibitori" (anticorpi) del fattore VIII o IX (proteine che contribuiscono alla coagulazione del sangue);
- emofilia acquisita (una malattia emorragica causata dallo sviluppo di inibitori del fattore VIII);
- deficit congenito di fattore VII;
- tromboastenia di Glanzmann (un disturbo emorragico raro) quando non possono essere trattati con trasfusione di piastrine (componenti che favoriscono la coagulazione del sangue).

HemAryo contiene il principio attivo eptacog alfa e avrebbe dovuto essere disponibile in polvere e solvente per la preparazione di una soluzione da iniettare in vena.

HemAryo è stato sviluppato come medicinale "biosimilare". Ciò significa che HemAryo era destinato a essere molto simile a un altro medicinale biologico già autorizzato nell'UE (il "medicinale di riferimento"). Il medicinale di riferimento di HemAryo è NovoSeven. Per maggiori informazioni sui medicinali biosimilari, cliccare [qui](#).

Come agisce HemAryo?

Il principio attivo di HemAryo, eptacog alfa, è quasi identico a una proteina umana chiamata fattore VII. Eptacog alfa agisce nello stesso modo del fattore VII. Nell'organismo il fattore VII contribuisce alla coagulazione del sangue in quanto attiva un altro fattore, denominato fattore X, che

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



dà inizio al processo di coagulazione. Attivando il fattore X, eptacog alfa è in grado di controllare temporaneamente il disturbo emorragico.

Poiché il fattore VII agisce direttamente sul fattore X, indipendentemente dai fattori VIII e IX, eptacog alfa può essere utilizzato in pazienti emofilici che hanno sviluppato inibitori del fattore VIII o IX e per sostituire il fattore VII mancante nei pazienti con deficit del fattore VII.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di studi di laboratorio che hanno messo a confronto HemAryo e il medicinale di riferimento, per verificare se il principio attivo di HemAryo fosse molto simile a quello di NovoSeven in termini di struttura, purezza e attività biologica.

Sono stati inoltre presentati i risultati di due studi clinici per dimostrare che HemAryo produce livelli di principio attivo simili al medicinale di riferimento nell'organismo e che la sua efficacia potrebbe essere paragonabile a quella di NovoSeven.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni iniziali fornite dalla ditta e aveva formulato un elenco di domande. Al momento del ritiro la ditta non aveva ancora risposto alle domande.

Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?

In base all'esame dei dati, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che HemAryo non potesse essere autorizzato per il trattamento degli episodi emorragici e per la prevenzione del sanguinamento in seguito a una procedura chirurgica in pazienti con disturbi di coagulazione.

L'Agenzia nutriva dubbi circa il modo in cui il medicinale era stato prodotto, con conseguenti incertezze sulla sua qualità. L'Agenzia nutriva dubbi anche in merito al disegno e alla conduzione degli studi che mettevano a confronto HemAryo con il medicinale di riferimento.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia non era in grado di trarre conclusioni in merito al fatto se HemAryo fosse molto simile al medicinale di riferimento e ha concluso che il medicinale non poteva essere autorizzato sulla base dei dati forniti dalla ditta.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato di aver deciso di ritirare la domanda a causa di importanti problemi di produzione.

Il ritiro della domanda influisce sui pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che tutte le sperimentazioni cliniche su HemAryo sono state portate a termine.