



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van HemAryo (eptacog alfa (geactiveerd))

De firma UGA Biopharma heeft haar aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen van HemAryo ingetrokken. HemAryo was bedoeld voor de behandeling en preventie van bloedingen, al dan niet na een chirurgische ingreep, bij patiënten met stollingsstoornissen.

De aanvraag werd op 6 mei 2022 ingetrokken.

Wat is HemAryo en voor welke behandeling was het bedoeld?

HemAryo werd ontwikkeld als geneesmiddel voor de behandeling en preventie van bloedingen, al dan niet na een operatie of een invasieve ingreep bij:

- patiënten met congenitale hemofilie (een aangeboren bloedziekte), die 'remmers' (antilichamen) tegen factor VIII of IX (eiwitten die een rol spelen bij de bloedstolling) hebben ontwikkeld of naar verwachting zullen ontwikkelen;
- patiënten met verworven hemofilie (een bloedziekte die wordt veroorzaakt door de spontane ontwikkeling van remmers tegen factor VIII);
- patiënten met congenitale factor VII-deficiëntie;
- patiënten met de ziekte van Glanzmann (trombasthenie, een zeldzame bloedziekte), die niet kunnen worden behandeld met een bloedplaatjestransfusie (componenten die de bloedstolling stimuleren).

HemAryo bevat de werkzame stof eptacog alfa en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van een poeder en een oplosmiddel waarmee een oplossing voor injectie in een ader wordt bereid.

HemAryo werd ontwikkeld als een 'biosimilar'. Dit betekent dat HemAryo bedoeld was om in hoge mate gelijkwaardig te zijn aan een biologisch geneesmiddel dat al in de Europese Unie is toegelaten (het 'referentiegeneesmiddel'). NovoSeven is het referentiegeneesmiddel voor HemAryo. Meer informatie over biosimilars vindt u in het [vraag-en-antwoorddocument](#).

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



Hoe werkt HemAryo?

De werkzame stof in HemAryo, eptacog alfa (geactiveerd), is vrijwel identiek aan het humane proteïne 'factor VII'. Eptacog alfa werkt op dezelfde wijze als factor VII. Factor VII is een stof in het lichaam die een rol speelt bij de bloedstolling. Het activeert factor X, een andere factor die het stollingsproces in gang zet. Door factor X te activeren kan eptacog alfa de bloedziekte tijdelijk onder controle houden.

Aangezien factor VII een rechtstreekse werking heeft op factor X, onafhankelijk van factor VIII en IX, kan eptacog alfa worden gebruikt bij hemofiliepatiënten die remmers hebben ontwikkeld tegen factor VIII of IX, en kan het worden gebruikt om de ontbrekende factor VII bij patiënten met factor VII-deficiëntie te vervangen.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De firma diende de resultaten in van laboratoriumstudies waarin HemAryo werd vergeleken met het referentiegeneesmiddel, om te onderzoeken of de werkzame stof in HemAryo qua structuur, zuiverheid en biologische activiteit in hoge mate gelijkwaardig is aan die in NovoSeven.

Er werden ook resultaten van twee klinische studies gepresenteerd om aan te tonen dat HemAryo vergelijkbare concentraties van de werkzame stof in het lichaam produceert als het referentiegeneesmiddel en dat de werkzaamheid ervan vergelijkbaar zou kunnen zijn met die van NovoSeven.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma trok de aanvraag in nadat het Europees Geneesmiddelenbureau de oorspronkelijke, door haar verstrekte documentatie had bestudeerd en een lijst met vragen had opgesteld. Op het ogenblik van de intrekking had de firma de vragen nog niet beantwoord.

Wat was de aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau op dat moment?

Op basis van de bestudering van de gegevens had het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat HemAryo niet had kunnen worden goedgekeurd voor de behandeling en preventie van bloedingen, al dan niet na een chirurgische ingreep, bij patiënten met stollingsstoornissen.

Het Geneesmiddelenbureau had bedenkingen over de wijze waarop het geneesmiddel werd geproduceerd, wat leidde tot onzekerheden over de kwaliteit van het geneesmiddel. Het Geneesmiddelenbureau had ook bedenkingen over de opzet en de uitvoering van de studies waarin HemAryo werd vergeleken met het referentiegeneesmiddel.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking niet in staat conclusies te trekken over de vraag of HemAryo in hoge mate gelijkwaardig is aan het referentiegeneesmiddel en concludeerde het dat het geneesmiddel niet kon worden goedgekeurd op basis van de door de firma overgelegde informatie.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

In de [brief](#) waarin de firma het Geneesmiddelenbureau op de hoogte brengt van de intrekking van de aanvraag, stelde de firma dat zij de aanvraag introk vanwege belangrijke productieproblemen.

Heeft deze intrekking gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

De firma deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat alle klinische proeven met HemAryo zijn afgerond.