



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

20 maja 2022 r.
EMA/267926/2022
EMA/H/C/005547

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu HemAryo (eptakog alfa (aktywowany))

Firma UGA Biopharma wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu HemAryo, który miał być stosowany w leczeniu epizodów krwawienia i zapobieganiu krwawieniom po zabiegach chirurgicznych u pacjentów z zaburzeniami krzepnięcia krwi.

Firma wycofała wniosek w dniu 6 maja 2022 r.

Czym jest lek HemAryo i w jakim celu miał być stosowany?

HemAryo opracowano jako lek stosowany w leczeniu epizodów krwawienia i zapobieganiu krwawieniom po zabiegu chirurgicznym lub zabiegach inwazyjnych u pacjentów z:

- wrodzoną hemofilią (zaburzeniem krzepnięcia krwi występującym od urodzenia), u których wytworzyły się lub mogą się wytworzyć inhibitory (przeciwciała) przeciwko czynnikowi VIII lub IX (białkom uczestniczącym w krzepnięciu krwi);
- nabytą hemofilią (zaburzeniem krwawienia spowodowanym wytworzeniem się inhibitorów przeciwko czynnikowi VIII);
- wrodzonym niedoborem czynnika VII;
- trombastenią Glanzmanna (rzadkim zaburzeniem krwawienia), której nie można leczyć za pomocą transfuzji płytek krwi (składników pomagających w krzepnięciu krwi).

Substancją czynną leku HemAryo jest eptakog alfa. Lek miał być dostępny w postaci proszku i roztworu do sporządzania roztworu do wstrzykiwań dożylnych.

Lek HemAryo opracowano jako lek biopodobny. Oznacza to, że lek HemAryo miał być bardzo podobny do innego leku biologicznego (zwanego także „lekiem referencyjnym”), który jest już dopuszczony do obrotu w Unii Europejskiej (UE). Lekiem referencyjnym dla produktu HemAryo jest produkt NovoSeven. Więcej informacji na temat leków biopodobnych znajduje się w dokumencie z pytaniami i odpowiedziami [tutaj](#).



Jak działa produkt HemAryo?

Substancja czynna leku HemAryo, eptakog alfa, jest prawie identyczna, jak ludzkie białko o nazwie czynnik VII. Eptakog alfa działa w ten sam sposób, co czynnik VII. W organizmie czynnik VII uczestniczy w krzepnięciu krwi. Aktywuje on inny czynnik zwany czynnikiem X, który rozpoczyna proces krzepnięcia. Poprzez aktywację czynnika X eptakog alfa jest w stanie zapewnić tymczasową kontrolę zaburzeń krwawienia.

Ponieważ czynnik VII działa bezpośrednio na czynnik X, niezależnie od czynników VIII i IX, eptakog alfa może być stosowany u pacjentów z hemofilią, u których wytworzyły się inhibitory czynnika VIII lub IX, i może zastąpić brakujący czynnik VII u pacjentów z niedoborem czynnika VII.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki badań laboratoryjnych porównujących lek HemAryo z lekiem referencyjnym w celu stwierdzenia, czy substancja czynna leku HemAryo wykazuje znaczne podobieństwo do substancji czynnej leku NovoSeven pod względem struktury, czystości i aktywności biologicznej.

Przedstawiono również wyniki dwóch badań klinicznych w celu wykazania, że po zastosowaniu leku HemAryo poziom substancji czynnej w organizmie jest podobny, jak po zastosowaniu leku referencyjnego, a jego skuteczność może być porównywalna do skuteczności leku NovoSeven.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny dokumentacji wstępnej przedłożonej przez firmę i sformułowaniu listy pytań. Firma wycofała wniosek przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i wstępna opinia wskazywała, że produkt HemAryo nie może być zatwierdzony w leczeniu epizodów krwawienia i zapobieganiu krwawieniom po zabiegu chirurgicznym u pacjentów z zaburzeniami krzepnięcia.

Obawy Agencji dotyczyły sposobu wytwarzania leku, co prowadziło do niejasności dotyczącej jakości leku. Agencja miała również wątpliwości odnośnie do projektu i przebiegu badań porównujących lek HemAryo z lekiem referencyjnym.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku Agencja nie była w stanie stwierdzić, czy lek HemAryo jest bardzo podobny do leku referencyjnego, i uznała, że na podstawie danych przedstawionych przez firmę nie można zatwierdzić leku.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofuje wniosek z powodu poważnych problemów produkcyjnych.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że wszystkie badania kliniczne leku HemAryo zostały zakończone.