



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranakogen dezaparwoweku*)

Przegląd wiedzy na temat leku Hemgenix i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Hemgenix i w jakim celu się go stosuje

Hemgenix jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych z ciężką i umiarkowaną ciężką postacią hemofilii B – dziedzicznym zaburzeniem krzepnięcia krwi wynikającym z braku czynnika IX (białka potrzebnego do wytwarzania skrzepów krwi w celu zatrzymania krwawienia). Lek stosuje się u osób dorosłych, u których nie wytworzyły się inhibitory (białka wytwarzane przez naturalne siły obronne organizmu) przeciwko czynnikowi IX.

Ze względu na to, że hemofilię B uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 21 marca 2018 r. lek Hemgenix uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć tutaj:

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

Lek Hemgenix zawiera substancję czynną etranakogen dezaparwoweku i jest lekiem przeznaczonym do zaawansowanego leczenia, zwanym „produktem terapii genowej”. Jest to rodzaj leku, którego działanie polega na dostarczaniu genów do organizmu.

Jak stosować lek Hemgenix

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz mający doświadczenie w leczeniu hemofilii i/lub zaburzeń krzepnięcia, w placówce wyposażonej w sprzęt do szybkiego leczenia reakcji związanych z infuzją.

Lek Hemgenix podaje się jednorazowo, w postaci pojedynczego wlewu dożylnego trwającego od jednej do dwóch godzin. Wielkość dawki zależy od masy ciała pacjenta.

Przed podaniem wlewu pacjentowi należy wykonać szereg badań, w tym badania sprawdzające stan wątroby oraz obecność inhibitorów czynnika IX. Ponieważ efekty działania leku Hemgenix mogą być widoczne dopiero po kilku tygodniach, zaleca się uważne monitorowanie pacjentów przez co najmniej 3 miesiące po wlewie, w celu podjęcia decyzji dotyczącej konieczności dodatkowej terapii zastępczej czynnikiem IX.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Hemgenix znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



Jak działa lek Hemgenix

U pacjentów z hemofilią B występują mutacje (zmiany) w genie, którego organizm potrzebuje do wytwarzania białka odpowiedzialnego za krzepnięcie krwi (czynnika IX), co prowadzi do częściowego lub całkowitego braku jego aktywności.

Substancja czynna leku Hemgenix, etranakogen dezaparwoweku, opiera się na wirusie zawierającym kopie genu odpowiedzialnego za wytwarzanie czynnika IX. Po podaniu wirusa pacjentowi wirus przenosi gen czynnika IX do komórek wątroby, co pozwala im wytworzyć brakujący czynnik IX i tym samym ograniczyć epizody krwawienia.

Rodzaj wirusa zastosowany w tym leku (wirus związany z adenowirusami) nie wywołuje choroby u ludzi.

Korzyści ze stosowania leku Hemgenix wykazane w badaniach

W badaniu z udziałem 54 dorosłych mężczyzn z ciężką lub umiarkowaną ciężką postacią hemofilii B wykazano, że lek Hemgenix jest skuteczniejszy w ograniczaniu epizodów krwawienia niż terapia zastępcza czynnika IX. W badaniu porównano liczbę epizodów krwawienia występujących u pacjentów poddanych terapii zastępczej czynnika IX w okresie 6 miesięcy przed przyjęciem leku Hemgenix oraz liczbę epizodów krwawienia, które wystąpiły w okresie 1 roku po osiągnięciu stabilnego poziomu czynnika IX po zastosowaniu leku Hemgenix. Dane z badania wykazały, że lek Hemgenix zmniejszył roczny wskaźnik krwawień z 4,2 do 1,5 krwawień na rok. W badaniu stwierdzono również, że lek Hemgenix jest skuteczny w zwiększaniu stężenia czynnika IX – 96% (52 z 54) pacjentów nie potrzebuje już terapii zastępczej czynnikiem IX przez okres do 2 lat po wlewie.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Hemgenix

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Hemgenix (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: ból głowy, podwyższony poziom niektórych enzymów wątrobowych i objawy grypopodobne.

Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Hemgenix znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Leku Hemgenix nie wolno podawać osobom, u których występuje nadwrażliwość (alergia) na którykolwiek składnik leku, u których występuje czynne lub przewlekłe (długoterminowe) zakażenie, które nie jest kontrolowane przy użyciu przyjmowanych leków lub u których występuje zaawansowane zwłóknienie wątroby lub marskość wątroby (bliznowacenie wątroby).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Hemgenix w UE

W chwili dopuszczenia do obrotu pacjenci z ciężką postacią hemofilii B wymagali stosowania terapii zastępczej czynnikiem IX przez całe życie. Lek Hemgenix, podawany w jednorazowym wlewie, był skuteczny w zapobieganiu krwawieniom przez okres co najmniej 2 lat, umożliwiając w ten sposób pacjentom przerwanie stosowania terapii zastępczej czynnikiem IX, co zmniejsza obciążenie spowodowane leczeniem choroby. Istnieją pewne wątpliwości co do tego, jak długo utrzymują się korzyści ze stosowania leku Hemgenix, jako że w badaniu głównym oceniano odpowiedź na leczenie u niewielkiej liczby pacjentów przez okres do 2 lat. Chociaż dane dotyczące długoterminowego bezpieczeństwa są ograniczone, profil bezpieczeństwa uznano za akceptowalny.

Lek Hemgenix uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu. Oznacza to, że Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Hemgenix przewyższają ryzyko, przy czym firma będzie musiała przedstawić dodatkowe dowody po dopuszczeniu leku do obrotu.

Warunkowe dopuszczenie do obrotu jest przyznawane na podstawie mniej kompleksowych danych niż te, które są zwykle wymagane. Przyznaje się je w odniesieniu do leków, które spełniają niezaspokojoną potrzebę medyczną w zakresie leczenia poważnych chorób i w przypadku, gdy korzyści z ich wcześniejszej dostępności przewyższają ryzyko związane ze stosowaniem tych leków w czasie oczekiwania na dalsze dowody. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne do czasu, gdy dane staną się wyczerpujące i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Hemgenix

W związku z tym, że lek Hemgenix uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu, firma wprowadzająca ten lek do obrotu dostarczy dodatkowe dane z trwających badań dotyczących długoterminowego bezpieczeństwa i skuteczności leku, w tym dane dotyczące czasu trwania odpowiedzi u pacjentów z ciężką lub umiarkowaną ciężką postacią hemofilii B. Firma dostarczy również dane z rejestru pacjentów, u których stosowano lek Hemgenix, w celu zbadania jego długoterminowego bezpieczeństwa i skuteczności.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Hemgenix

Firma, która wprowadza lek Hemgenix do obrotu dostarczy materiały edukacyjne pacjentom lub ich opiekunom oraz personelowi medycznemu, zawierające informacje na temat korzyści, ryzyka i wątpliwości związanych z długoterminowym działaniem i bezpieczeństwem leku. Pacjenci muszą także otrzymać kartę pacjenta zawierającą informacje dla personelu medycznego o przyjmowaniu leku Hemgenix.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Hemgenix w Charakterystyce Produktu Lekniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Hemgenix są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Hemgenix są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Hemgenix

Dalsze informacje na temat leku Hemgenix znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix