



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/950876/2022  
EMA/H/C/004406

## Hemlibra (*emicizumab*)

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

### Czym jest lek Hemlibra i w jakim celu się go stosuje

Hemlibra to lek stosowany w celu zapobiegania krwawieniom lub zmniejszenia liczby epizodów krwawienia u pacjentów z hemofilią A (dziedziczne zaburzenie krzepnięcia krwi wynikające z braku czynnika VIII).

Lek stosuje się:

- u pacjentów, u których doszło do rozwoju inhibitorów czynnika VIII. Inhibitory te są przeciwciałami we krwi, które działają przeciw lekom zawierającym czynnik VIII i uniemożliwiają ich prawidłowe działanie.
- u pacjentów, u których nie występują inhibitory czynnika VIII, jeżeli hemofilia A ma postać ciężką lub umiarkowaną.

Substancją czynną zawartą w leku Hemlibra jest emicizumab.

### Jak stosować lek Hemlibra

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz z doświadczeniem w leczeniu hemofilii lub zaburzeń krzepnięcia.

Lek jest dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań podskórnych w brzuch, udo lub górną część ramienia. Po przeszkoleniu pacjenci (lub ich opiekunowie) mogą samodzielnie wstrzykiwać lek Hemlibra w domu. Wstrzyknięcie w ramię powinno być podawane wyłącznie przez opiekuna lub pracownika służby zdrowia.

Dzień przed rozpoczęciem stosowania leku Hemlibra należy zakończyć podawanie leków omijających (leki stosowane w celu zapobiegania krwawieniom u pacjentów z inhibitorami czynnika VIII, takie jak aktywowany koncentrat kompleksu protrombiny lub rekombinowany czynnik VIIa).

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Dawka leku Hemlibra zależy od masy ciała pacjenta. Zalecana dawka to 3 mg na kg masy ciała raz w tygodniu przez pierwsze 4 tygodnie. Następnie pacjenci mogą przyjmować 1,5 mg na kg masy ciała raz w tygodniu, 3 mg na kg masy ciała co 2 tygodnie lub 6 mg na kg masy ciała co 4 tygodnie. Lek Hemlibra jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.

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

## **Jak działa lek Hemlibra**

U pacjentów z hemofilią A występuje brak czynnika VIII – substancji w organizmie wspomagającej krzepnięcie krwi. Substancja czynna leku Hemlibra – emicizumab – jest przeciwciałem monoklonalnym, które zostało opracowane w taki sposób, aby działało tak, jak czynnik VIII – łącząc 2 czynniki krzepnięcia (IXa i X) w łańcuchu reakcji koniecznych do krzepnięcia krwi.

Ze względu na to, że emicizumab ma inną budowę niż czynnik VIII, inhibitory czynnika VIII nie mają na niego wpływu. Jednak podczas badań klinicznych stwierdzano rzadko powstawanie neutralizujących przeciwciał przeciwko emicizumabowi, co prowadziło do utraty skuteczności.

## **Korzyści ze stosowania leku Hemlibra wykazane w badaniach**

W badaniu z udziałem 109 pacjentów udowodniono skuteczność leku Hemlibra w zapobieganiu krwawieniom u chorych na hemofilię A o różnym nasileniu, u których występują inhibitory czynnika VIII. W tym badaniu u pacjentów otrzymujących lek Hemlibra w celach profilaktycznych występowało mniej krwawień wymagających leczenia (odpowiednik 3 krwawień na rok) niż u pacjentów nieotrzymujących leczenia profilaktycznego (odpowiednik 23 krwawień na rok).

Do badania zakwalifikowano także pacjentów przyjmujących już profilaktycznie leki określone jako leki omijające. Po zmianie leczenia u tych pacjentów na lek Hemlibra liczba leczonych krwawień na pacjenta zmniejszyła się z odpowiednika około 16 krwawień na rok przed zmianą leczenia do odpowiednika około 3 krwawień na rok po zmianie. Pacjenci otrzymujący lek Hemlibra mieli także lepsze wskaźniki jakości życia niż osoby nieotrzymujące leku Hemlibra.

W badaniu z udziałem 152 pacjentów wykazano, że lek Hemlibra jest również skuteczny w zapobieganiu epizodom krwawienia u pacjentów z ciężką postacią hemofilii A, u których nie występują inhibitory czynnika VIII. U pacjentów otrzymujących lek Hemlibra w celach profilaktycznych wystąpił około 1 epizod krwawienia wymagający leczenia na rok, natomiast u pacjentów nieotrzymujących leczenia profilaktycznego wystąpiło 38 epizodów krwawienia rocznie.

W badaniu przeprowadzonym z udziałem 51 pacjentów wykazano, że lek Hemlibra był skuteczny w zapobieganiu krwawieniom u osób z umiarkowaną postacią hemofilii A, u których nie występowały inhibitory czynnika VIII, a którzy wymagali leczenia zapobiegawczego ze względu na ciężki fenotyp krwotoczny. U pacjentów, którzy przyjmowali lek Hemlibra odnotowano średnio ok. 1 krwawienie wymagające leczenia rocznie.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Hemlibra**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Hemlibra (mogące wystąpić u co najmniej 1 na 10 pacjentów) to swędzenie lub ból w miejscu wstrzyknięcia, ból stawów oraz ból głowy.

Najpoważniejsze działania niepożądane (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to mikroangiopatia zakrzepowa (zakrzepy w małych naczyniach krwionośnych) i zakrzepica (tworzenie się zakrzepów w naczyniach krwionośnych), w tym zakrzepica zatoki jamistej (tworzenie się zakrzepów u podstawy

mózgu) oraz zakrzepica żył powierzchownych (tworzenie się zakrzepów w żyłach pod skórą, zwykle na ramionach lub nogach) z uszkodzeniem skóry.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Hemlibra znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Hemlibra w UE**

Dla pacjentów z hemofilią A, u których doszło do rozwoju inhibitorów czynnika VIII, odpowiednich jest tylko kilka leków, zwanych lekami omijającymi. Lek Hemlibra zmniejsza liczbę epizodów krwawienia u tych pacjentów i poprawia jakość życia. Ponadto lek zmniejsza liczbę epizodów krwawień u pacjentów z ciężką postacią hemofilii A, u których nie występują inhibitory czynnika VIII.

Działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Hemlibra są możliwe do zniesienia, a informacje dotyczące zarządzania ryzykiem poważnych działań niepożądanych umieszczono w szczegółowej informacji o leku oraz materiałach edukacyjnych.

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Hemlibra przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Hemlibra**

Firma, która wprowadza lek Hemlibra do obrotu, wyda materiały edukacyjne dla personelu medycznego, pacjentów, opiekunów i personelu laboratoriów dotyczące działań niepożądanych związanych z nieprawidłowym krzepnięciem, ryzyka wynikającego ze stosowania leku Hemlibra jednocześnie z lekami omijającymi oraz wykonywania badań laboratoryjnych dla tych pacjentów. Materiały będą obejmowały druki informacyjne, poradniki oraz kartę ostrzegawczą dla pacjenta.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Hemlibra w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w 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 Hemlibra są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Hemlibra są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące leku Hemlibra**

Lek Hemlibra otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 23 lutego 2018 r.

Dalsze informacje na temat leku Hemlibra znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemlibra](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemlibra).

Data ostatniej aktualizacji: 02.2023.