



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranacogene dezaparvovec*)

Um resumo sobre Hemgenix e porque está autorizado na UE

O que é Hemgenix e para que é utilizado?

Hemgenix é um medicamento utilizado no tratamento de adultos com hemofilia B grave e moderadamente grave, uma doença hemorrágica hereditária causada pela falta de fator IX (uma proteína necessária para produzir coágulos sanguíneos para estancar hemorragias). É utilizado em adultos que não desenvolveram inibidores (proteínas produzidas pelas defesas naturais do organismo) contra o fator IX.

A hemofilia B é uma doença rara, e Hemgenix foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 21 de março de 2018. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix contém a substância ativa etranacogene dezaparvovec e é um tipo de medicamento de terapia avançada denominado medicamento de terapia genética. Trata-se de um tipo de medicamento com um mecanismo de ação que consiste em transferir genes para o organismo.

Como se utiliza Hemgenix?

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento deve ser iniciado sob a supervisão de um médico com experiência no tratamento da hemofilia e/ou de distúrbios hemorrágicos, num estabelecimento equipado para o tratamento imediato de reações relacionadas com a perfusão.

Hemgenix é administrado uma vez, sob a forma de uma perfusão única (administração gota a gota) numa veia, com a duração de uma a duas horas. A dose a utilizar depende do peso corporal do doente.

Antes de receber a perfusão, o doente fará uma série de testes, incluindo testes para verificar o estado de saúde do fígado e se tem inibidores do fator IX. Uma vez que Hemgenix demora várias semanas a fazer efeito, os doentes serão monitorizados atentamente durante, pelo menos, 3 meses após a perfusão para decidir se necessitam de tratamento adicional com terapêutica de substituição do fator IX.

Para mais informações sobre a utilização de Hemgenix, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.



Como funciona Hemgenix?

Os doentes com hemofilia B têm mutações (alterações) num gene do qual o organismo necessita para produzir a proteína de coagulação fator IX, resultando na ausência parcial ou total da sua atividade.

A substância ativa de Hemgenix, o etranacogene dezaparvovec, baseia-se num vírus que contém cópias do gene responsável pela produção do fator IX. Quando administrado ao doente, o vírus transportará o gene do fator IX para as células do fígado, permitindo-lhes produzir o fator IX em falta e, desse modo, limitar os episódios hemorrágicos.

O tipo de vírus utilizado neste medicamento (vírus adeno-associado) não causa doença nos seres humanos.

Quais os benefícios demonstrados por Hemgenix durante os estudos?

Um estudo realizado em 54 doentes adultos do sexo masculino com hemofilia B grave ou moderadamente grave concluiu que Hemgenix era mais eficaz na redução de acontecimentos hemorrágicos do que a terapêutica de substituição do fator IX. O estudo comparou o número de episódios hemorrágicos que os doentes tiveram com a terapêutica de substituição do fator IX durante um período de 6 meses antes de receberem Hemgenix com o número de episódios que sofreram durante um período de 1 ano após atingirem níveis estáveis de fator IX com Hemgenix. Os dados do estudo demonstraram que Hemgenix reduziu a taxa de hemorragia anual de 4,2 para 1,5 hemorragias por ano. O estudo também concluiu que Hemgenix foi eficaz no aumento dos níveis de fator IX, com 96 % dos doentes (52 em 54) a não necessitarem de terapia de substituição de fator IX durante um período máximo de 2 anos após a perfusão.

Quais são os riscos associados a Hemgenix?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Hemgenix (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são dores de cabeça, aumento dos níveis de determinadas enzimas hepáticas e sintomas do tipo gripal.

Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente a Hemgenix, consulte o Folheto Informativo.

Hemgenix é contraindicado em pessoas hipersensíveis (alérgicas) a qualquer um dos seus componentes, que tenham uma infeção ativa ou crónica (de longa duração) não controlada por medicamentos ou que tenham fibrose hepática avançada ou cirrose hepática (reação fibrótica do fígado).

Porque está Hemgenix autorizado na UE?

À data da aprovação, os doentes com hemofilia B grave necessitavam de tratamento ao longo da vida com terapêutica de substituição do fator IX. Hemgenix, administrado numa perfusão única, foi eficaz na prevenção de hemorragias durante um período de pelo menos 2 anos, permitindo assim aos doentes descontinuar o tratamento com terapêutica de substituição do fator IX, o que reduz a carga causada pelo tratamento da doença. Existem algumas incertezas quanto à duração dos benefícios de Hemgenix, dado que o estudo principal avaliou a resposta num pequeno número de doentes durante um período máximo de 2 anos. Embora os dados de segurança a longo prazo fossem limitados, o perfil de segurança foi considerado aceitável.

Foi concedida a Hemgenix uma autorização condicional. Isto significa que a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Hemgenix são superiores aos seus riscos, mas a empresa terá de fornecer provas adicionais após a autorização.

A autorização condicional é concedida com base em dados menos abrangentes do que os normalmente exigidos. É concedida para medicamentos que preencham uma necessidade médica por satisfazer para tratar doenças graves e quando os benefícios de os ter disponíveis mais cedo são superiores a eventuais riscos associados à utilização destes medicamentos enquanto se aguarda mais evidências. A Agência Europeia de Medicamentos procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis até que os dados sejam exaustivos e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre Hemgenix?

Dado que foi concedida uma autorização condicional a Hemgenix, a empresa que comercializa este medicamento irá fornecer dados adicionais dos estudos em curso sobre a segurança e a eficácia a longo prazo do medicamento, incluindo a duração da resposta, em doentes com hemofilia B grave a moderadamente grave. A empresa fornecerá também dados de um registo de doentes tratados com Hemgenix para estudar a sua segurança e eficácia a longo prazo.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Hemgenix?

A empresa que comercializa Hemgenix irá fornecer material informativo aos doentes ou aos seus prestadores de cuidados e aos profissionais de saúde, com informações sobre os benefícios, os riscos e as incertezas quanto aos efeitos a longo prazo e à segurança do medicamento. Os doentes devem também receber um cartão do doente para informar os profissionais de saúde de que foram tratados com Hemgenix.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Hemgenix.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Hemgenix são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Hemgenix são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger as doentes.

Outras informações sobre Hemgenix

Mais informações sobre Hemgenix podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix