



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranacogene dezaparvovec*)

Prezentare generală a Hemgenix și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Hemgenix și pentru ce se utilizează?

Hemgenix este un medicament utilizat pentru tratarea adulților cu hemofilie B severă și moderat severă, o afecțiune hemoragică ereditară cauzată de lipsa factorului IX (o proteină necesară pentru producerea de cheaguri de sânge ca să se oprească sângerarea). Se utilizează la adulți care nu au dezvoltat inhibitori (proteine produse de mecanismele naturale de apărare ale organismului) împotriva factorului IX.

Hemofilia B este rară, iar Hemgenix a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 21 martie 2018. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix conține substanța activă etranacogene dezaparvovec și este un tip de medicament pentru terapie avansată numit „produs pentru terapie genică”. Este un tip de medicament care acționează prin eliberarea de gene în organism.

Cum se utilizează Hemgenix?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul trebuie inițiat sub supravegherea unui medic cu experiență în tratamentul hemofiliei și/sau al tulburărilor hemoragice, într-o unitate echipată pentru tratarea promptă a reacțiilor asociate perfuziei.

Hemgenix se administrează o singură dată, sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă) unică, cu durată de una până la două ore. Doza depinde de greutatea pacientului.

Înainte de administrarea perfuziei, pacientul va face o serie de analize, inclusiv analize pentru a verifica starea de sănătate a ficatului și dacă are inhibitori ai factorului IX. Întrucât durează mai multe săptămâni până când se observă efectele Hemgenix, pacienții vor fi monitorizați îndeaproape timp de cel puțin 3 luni după perfuzie, pentru a decide dacă au nevoie de tratament suplimentar cu terapie de substituție cu factor IX.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Hemgenix, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.



Cum acționează Hemgenix?

Pacienții cu hemofilie B au mutații (modificări) la nivelul unei gene de care are nevoie organismul pentru a produce proteina de coagulare factor IX, ceea ce determină lipsa parțială sau completă a activității acesteia.

Substanța activă din Hemgenix, etranacogene dezaparvovec, are la bază un virus care conține copii ale genei responsabile de producerea factorului IX. Când se administrează pacientului, virusul va transporta gena factorului IX la celulele hepatice, permițându-le să producă factorul IX lipsă și, astfel, să scurteze episoadele de sângerare.

Tipul de virus utilizat în acest medicament (virus adeno-asociat) nu cauzează boala la om.

Ce beneficii a prezentat Hemgenix pe parcursul studiilor?

Un studiu pe 54 de pacienți adulți de sex masculin cu hemofilie B severă sau moderat severă a constatat că Hemgenix este mai eficace în reducerea evenimentelor hemoragice decât terapia de substituție cu factor IX. Studiul a comparat numărul de episoade hemoragice pe care pacienții le-au avut cu terapia de substituție cu factor IX într-o perioadă de 6 luni înainte de a li se administra Hemgenix cu cel avut într-o perioadă de 1 an după atingerea unui nivel stabil de factor IX prin Hemgenix. Datele obținute din studiu au arătat că Hemgenix a redus rata anuală a sângerării de la 4,2 la 1,5 hemoragii pe an. De asemenea, studiul a constatat că Hemgenix este eficace în creșterea nivelului de factor IX, 96 % din pacienți (52 din 54) nemaivând nevoie terapie de substituție cu factor IX timp de până la 2 ani după perfuzie.

Care sunt riscurile asociate cu Hemgenix?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Hemgenix (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri de cap, niveluri crescute ale anumitor enzime hepatice și simptome asemănătoare gripei.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Hemgenix, citiți prospectul.

Hemgenix este contraindicat la persoanele care sunt hipersensibile (alergice) la oricare dintre ingredientele sale, care au o infecție activă sau cronică (de lungă durată) care nu este ținută sub control de medicamente sau care au fibroză hepatică în stadiu avansat sau ciroză hepatică (sclerozarea ficatului).

De ce a fost autorizat Hemgenix în UE?

La momentul aprobării, pacienții cu hemofilie B severă aveau nevoie de tratament pe tot parcursul vieții cu terapie de substituție cu factor IX. Hemgenix, administrat în perfuzie unică, a fost eficace în prevenirea sângerării pe o perioadă de cel puțin 2 ani, permițând astfel pacienților să întrerupă terapia de substituție cu factor IX, ceea ce reduce inconvenientele cauzate de tratamentul acestei bolii. Există unele incertitudini cu privire la durata beneficiilor Hemgenix, având în vedere că studiul principal a evaluat răspunsul la un număr mic de pacienți pe o perioadă de până la 2 ani. Deși datele de siguranță pe termen lung au fost limitate, profilul de siguranță a fost considerat acceptabil.

Hemgenix a primit „autorizație condiționată”. Aceasta înseamnă că Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Hemgenix sunt mai mari decât riscurile asociate, dar compania va trebui să furnizeze dovezi suplimentare după autorizare.

Autorizația condiționată se acordă pe baza unor date mai puțin cuprinzătoare decât cele solicitate în mod normal. Se acordă medicamentelor care îndeplinesc o necesitate medicală nesatisfăcută de tratare

a bolilor grave și dacă beneficiile disponibilității lor timpurii depășesc riscurile asociate cu utilizarea medicamentelor în timp ce se așteaptă dovezi suplimentare. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza informațiile nou apărute până când datele devin complete, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Hemgenix?

Având în vedere că Hemgenix a primit autorizație condiționată, compania care comercializează acest medicament va furniza date suplimentare din studiile în curs de desfășurare privind siguranța și eficacitatea pe termen lung a medicamentului, inclusiv despre durata răspunsului, la pacienții cu hemofilie B severă până la moderat severă. De asemenea, compania va furniza date dintr-un registru al pacienților tratați cu Hemgenix pentru a studia siguranța și eficacitatea sa pe termen lung.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Hemgenix?

Compania care comercializează Hemgenix va furniza materiale educaționale pacienților sau îngrijitorilor acestora și personalului medical, care conțin informații privind beneficiile, riscurile și incertitudinile legate de efectele pe termen lung și de siguranța medicamentului. De asemenea, pacienții trebuie să primească un card pentru pacienți care să informeze personalul medical că au fost tratați cu Hemgenix.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Hemgenix, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Hemgenix sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Hemgenix sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Hemgenix

Informații suplimentare cu privire la Hemgenix sunt disponibile pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix