



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

20. mája 2022
EMA/267926/2022
EMA/H/C/005547

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek HemAryo [eptakog alfa (aktivovaný)]

Spoločnosť UGA Biopharma stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku HemAryo na trh, ktorý je určený na liečbu epizód krvácania a na prevenciu krvácania po chirurgických zákrokoch u pacientov poruchami zrážanlivosti krvi.

Spoločnosť stiahla svoju žiadosť 6. mája 2022.

Čo je liek HemAryo a na čo sa mal používať?

Liek HemAryo bol vyvinutý ako liek na liečbu epizód krvácania a na prevenciu krvácania po operácii alebo invazívnych zákrokoch u pacientov:

- s vrodenou hemofíliou (vrodenou poruchou krvácania), u ktorých sa vytvorili alebo sa predpokladá, že sa vytvoria tzv. inhibitory (protilátky) faktoru VIII alebo IX (proteíny podieľajúce sa na zrážaní krvi),
- so získanou hemofíliou (poruchou krvácania spôsobenou vytvorením inhibítorov faktoru VIII),
- s vrodeným nedostatkom faktoru VII,
- s Glanzmannovou trombasténiou (zriedkavou poruchou krvácania), ktorá sa nemôže liečiť transfúziou krvných doštičiek (zložky, ktoré pomáhajú pri zrážaní krvi).

Liek HemAryo obsahuje liečivo eptakog alfa a mal byť dostupný vo forme prášku a rozpúšťadla, z ktorých sa pripravuje roztok na injekčné podanie do žily.

Liek HemAryo bol vyvinutý ako tzv. biologicky podobný liek. To znamená, že liek HemAryo mal byť veľmi podobný inému biologickému lieku, ktorý je už v EÚ povolený (tzv. referenčný liek).

Referenčným liekom pre liek HemAryo je liek NovoSeven. Viac informácií o biologicky podobných liekoch sa nachádza [tu](#).

Akým spôsobom liek HemAryo účinkuje?

Liečivo lieku HemAryo, eptakog alfa, je takmer identický s ľudským proteínom nazývaným faktor VII. Eptakog alfa pôsobí rovnakým spôsobom ako faktor VII. V tele sa faktor VII podieľa na zrážaní krvi.

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



Aktivuje ďalší faktor nazývaný faktor X, ktorý spúšťa proces zrážania. Aktivovaním faktora X je eptakog alfa schopný zabezpečiť dočasnú kontrolu nad poruchou krvácania.

Kedže faktor VII pôsobí priamo na faktor X, nezávisle od faktora VIII a IX, eptakog alfa sa môže používať u pacientov s hemofíliou, u ktorých sa vytvorili inhibítory faktora VIII alebo IX, a na nahradenie chýbajúceho faktora VII u pacientov s nedostatkom faktora VII.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky laboratórnych štúdií, v ktorých sa liek HemAryo porovnával s referenčným liekom s cieľom zistiť, či je liečivo lieku HemAryo veľmi podobné liečivu lieku NovoSeven, pokiaľ ide o štruktúru, čistotu a biologický účinok.

Predložili sa aj výsledky z dvoch klinických štúdií, aby sa preukázalo, že liek HemAryo vytvára v tele podobné hladiny liečiva ako referenčný liek a že jeho účinnosť by mohla byť porovnateľná s účinnosťou lieku NovoSeven.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila pôvodné informácie, ktoré spoločnosť predložila, a sformulovala zoznam otázok pre spoločnosť. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na otázky.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek HemAryo nemôže byť povolený na liečbu epizód krvácania a na prevenciu krvácania po chirurgickom zákroku u pacientov s poruchami zrážanlivosti krvi.

Agentúra mala výhrady týkajúce sa spôsobu výroby lieku, čo viedlo k neistote vo vzťahu ku kvalite lieku. Agentúra mala tiež výhrady týkajúce sa návrhu a vedenia štúdií, v ktorých sa liek HemAryo porovnával s referenčným liekom.

Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti nebola schopná vyvodiť závery o tom, či je liek HemAryo veľmi podobný referenčnému lieku a dospela k záveru, že liek nemôže byť povolený na základe údajov, ktoré spoločnosť predložila.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že žiadosť sťahuje pre závažné problémy spojené s výrobou.

Má stiahnutie žiadosti vplyv na pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach?

Spoločnosť informovala agentúru, že všetky klinické skúšania lieku HemAryo boli ukončené.