



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom HemAryo (eptakog alfa (aktiviran))

Podjetje UGA Biopharma je umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom HemAryo, namenjenim zdravljenju in preprečevanju krvavitev po kirurških posegih pri bolnikih z motnjami strjevanja krvi.

Podjetje je vlogo umaknilo 6. maja 2022.

Kaj je zdravilo HemAryo in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo HemAryo je bilo razvito kot zdravilo za zdravljenje in preprečevanje krvavitev po kirurškem posegu ali invazivnih posegih pri bolnikih, ki imajo:

- prirojeno hemofilijo (motnjo strjevanja krvi od rojstva), pri katerih so se razvili ali je pričakovati, da se bodo razvili, „zaviralci“ (protitelesa) faktorja VIII ali IX (beljakovine, ki sodelujejo pri strjevanju krvi);
- pridobljeno hemofilijo (motnjo strjevanja krvi, ki jo sproži razvoj zaviralcev faktorja VIII);
- prirojeno pomanjkanje faktorja VII;
- Glanzmannovo trombastenijo (redko motnjo strjevanja krvi), ki je ni mogoče zdraviti s transfuzijo trombocitov (sestavino krvi, ki pomaga pri strjevanju krvi).

Zdravilo HemAryo vsebuje učinkovino eptakog alfa in naj bi bilo na voljo v obliki praška in vehikla za pripravo raztopine za injiciranje v veno.

Zdravilo HemAryo je bilo razvito kot „podobno biološko zdravilo“. To pomeni, da naj bi bilo zelo podobno drugemu biološkemu zdravilu, ki je v EU že odobreno in vsebuje enako učinkovino (referenčno zdravilo). Referenčno zdravilo za zdravilo HemAryo je zdravilo NovoSeven. Za več informacij o podobnih bioloških zdravilih glejte dokument, ki je na voljo [tukaj](#).

Kako zdravilo HemAryo deluje?

Učinkovina v zdravilu HemAryo, eptakog alfa, je skoraj enaka človeški beljakovini, imenovani faktor VII. Eptakog alfa deluje enako kot faktor VII. Faktor VII v telesu sodeluje pri koagulaciji

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



(strjevanju) krvi. Aktivira drug faktor, imenovan faktor X, ki sproži proces strjevanja krvi. Z aktiviranjem faktorja X lahko eptakog alfa začasno nadzoruje motnjo strjevanja krvi.

Ker faktor VII deluje neposredno na faktor X, neodvisno od faktorjev VIII in IX, se lahko eptakog alfa uporablja pri bolnikih s hemofilijo, pri katerih so se razvili zaviralci faktorja VIII ali IX, in za nadomestitev manjkajočega faktorja VII pri bolnikih s pomanjkanjem faktorja VII.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo rezultate laboratorijskih študij, v katerih so zdravilo HemAryo primerjali z referenčnim zdravilom, da bi raziskali, ali je učinkovina v zdravilu HemAryo po zgradbi, čistosti in biološkem delovanju zelo podobna učinkovini v zdravilu NovoSeven.

Predstavljeni so bili tudi rezultati dveh kliničnih študij, ki naj bi pokazali, da zdravilo HemAryo v telesu proizvede podobne ravni učinkovine kot referenčno zdravilo ter da je njegova učinkovitost primerljiva z učinkovitostjo zdravila NovoSeven.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Podjetje ob umiku vloge še ni odgovorilo na zastavljena vprašanja.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov ob umiku vloge izrazila določene zadržke in je začasno menila, da zdravila HemAryo ni mogoče odobriti za zdravljenje in preprečevanje krvavitev po kirurškem posegu pri bolnikih z motnjami strjevanja krvi.

Agencija je imela pomisleke glede načina izdelave zdravila, kar je privedlo do negotovosti glede kakovosti zdravila. Imela je tudi pomisleke glede zasnove in izvedbe študij, v katerih so zdravilo HemAryo primerjali z referenčnim zdravilom.

Zato ob umiku vloge ni mogla oblikovati zaključkov o tem, ali je zdravilo HemAryo zelo podobno referenčnemu zdravilu, in je sklenila, da na podlagi podatkov, ki jih je predložilo podjetje, zdravila ni mogoče odobriti.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da vlogo umika zaradi večjih težav v proizvodnji.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?

Podjetje je agencijo obvestilo, da so bila vsa klinična preskušanja z zdravilom HemAryo zaključena.