



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av HemAryo (eptakog alfa (aktiverad))

UGA Biopharma återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning av HemAryo som var avsett för behandling av blödningsepisoder och förebyggande av blödningar efter kirurgiska ingrepp hos patienter med koagulationssjukdomar.

Företaget återkallade sin ansökan den 6 maj 2022.

Vad är HemAryo och vad skulle det användas för?

HemAryo togs fram som ett läkemedel för att behandla blödningsepisoder och förebygga blödningar efter kirurgiska ingrepp eller invasiva förfaranden hos följande patientgrupper:

- Patienter med kongenital hemofili (medfödd blödarsjuka) som har utvecklat eller förväntas utveckla "inhibitorer" (antikroppar) mot faktor VIII eller IX (proteiner som bidrar till blodets koagulering).
- Patienter med förvärvad hemofili (en blödningssjukdom som orsakas av utvecklingen av faktor VIII-inhibitorer).
- Patienter med medfödd brist på faktor VII.
- Patienter med Glanzmanns trombasteni (en ovanlig blödningssjukdom) som inte kan behandlas med transfusion av blodplättar (blodkroppar som hjälper blodet att koagulera).

HemAryo innehåller den aktiva substansen eptakog alfa och skulle finnas som pulver och vätska som bereds till en lösning för injicering i en ven.

HemAryo togs fram som en biosimilar (liknande biologiskt läkemedel). Det betyder att HemAryo var avsett att i hög grad likna ett annat biologiskt läkemedel som redan godkänts i EU, ett s.k. referensläkemedel. Referensläkemedlet för HemAryo är NovoSeven. Mer information om biosimilarer finns [här](#).

Hur verkar HemAryo?

Den aktiva substansen i HemAryo, eptakog alfa, är nästan identisk med det mänskliga protein som kallas faktor VII. Eptakog alfa verkar på samma sätt som faktor VII, som bidrar till blodkoaguleringen i

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



kroppen. Den aktiverar en annan faktor, nämligen faktor X, som sätter igång koaguleringsprocessen. Genom att aktivera faktor X bidrar eptakog alfa till en tillfällig kontroll av blödningssjukdomen.

Eftersom faktor VII verkar direkt på faktor X, oberoende av faktor VIII och faktor IX, kan eptakog alfa ges till hemofilpatienter som har utvecklat inhibitorer mot faktor VIII eller faktor IX. Eptakog alfa kan även ges för att ersätta faktor VII till patienter med faktor VII-brist.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lade fram resultat från laboriestudier där HemAryo jämfördes med referensläkemedlet för att undersöka om den aktiva substansen i HemAryo är mycket lik den i NovoSeven vad gäller struktur, renhet och biologisk aktivitet.

Resultat från två kliniska studier lades också fram för att visa att HemAryo bildar liknande halter av den aktiva substansen i kroppen som referensläkemedlet och att dess effekt kan vara jämförbar med NovoSevens effekt.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) hade utvärderat den ursprungliga informationen från företaget och sammanställt en frågelista. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat frågorna.

Vad rekommenderade EMA vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna hyste EMA vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att HemAryo inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av blödningsepisoder och förebyggande av blödningar efter kirurgiska ingrepp hos patienter med koagulationssjukdomar.

EMA hyste betänkligheter om hur läkemedlet tillverkades, vilket ledde till osäkerhet kring läkemedlets kvalitet. EMA hyste också betänkligheter om utformningen och genomförandet av studierna där HemAryo jämfördes med referensläkemedlet.

Därför kunde EMA vid tidpunkten för återkallandet inte dra några slutsatser om huruvida HemAryo är mycket likt referensläkemedlet, och fann att läkemedlet inte skulle ha kunnat godkännas på grundval av de uppgifter som företaget lämnat.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att det återkallade ansökan på grund av större tillverkningsproblem.

Påverkar detta återkallande patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade EMA om att alla kliniska prövningar med HemAryo har slutförts.