



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*etranacogene dezaparvovec*)

En oversigt over Hemgenix, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Hemgenix, og hvad anvendes det til?

Hemgenix er et lægemiddel til behandling af voksne med svær og moderat svær hæmofili B, en arvelig blødningsforstyrrelse, der skyldes mangel på faktor IX (et protein, der er nødvendigt for at få blodet til at størkne, så blødningen kan standses). Det anvendes til voksne, som ikke har udviklet inhibitorer (proteiner, der dannes af immunforsvaret) mod faktor IX.

Hæmofili B er sjælden, og Hemgenix blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 21. marts 2018. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix indeholder det aktive stof etranacogene dezaparvovec og er en type lægemiddel til avanceret terapi, som kaldes et "genterapiprodukt". Denne type lægemiddel virker ved, at kroppen tilføres gener.

Hvordan anvendes Hemgenix?

Lægemidlet fås kun på recept. Behandlingen skal indledes under overvågning af en læge med erfaring inden for behandling af hæmofili og/eller blødningsforstyrrelser på et hospital eller en klinik, der er udstyret til omgående behandling af infusionsrelaterede reaktioner.

Hemgenix gives én gang som en enkelt infusion (drop) i en vene i en til to timer. Dosis afhænger af patientens kropsvægt.

Før infusionen skal patienten have taget en række prøver, blandt andet for at kontrollere leverfunktionen, og undersøge, om patienten har faktor IX-hæmmere. Da der vil gå flere uger, inden virkningerne af Hemgenix viser sig, vil patienterne blive overvåget nøje i mindst 3 måneder efter infusionen for at afgøre, om de behøver yderligere behandling med faktor IX-erstatningsterapi.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Hemgenix, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Hemgenix?

Patienter med hæmofili B har mutationer (forandringer) i et gen, som kroppen behøver for at danne blodstørkningsproteinet faktor IX, hvilket enten medfører delvis eller fuldstændig mangel på aktivitet.

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



Det aktive stof i Hemgenix, etranacogene dezaparvovec, er baseret på et virus, der indeholder kopier af det gen, der danner faktor IX. Når virusset gives til patienten, vil det transportere faktor IX-genet til levercellerne, så de kan danne den manglende faktor IX og dermed begrænse blødningsepisoder.

Den type virus, der anvendes i dette lægemiddel (adenoassocieret virus), medfører ikke sygdom hos mennesker.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Hemgenix?

Et studie med 54 voksne mandlige patienter med svær eller moderat svær hæmofili B viste, at Hemgenix var mere effektivt til at reducere blødningshændelser end erstatningsterapi med faktor IX. I studiet sammenlignedes antallet af blødningsepisoder, som patienterne havde med faktor XI-erstatningsterapi i en periode på 6 måneder, inden de fik Hemgenix, med antallet af tilfælde i en periode på 1 år, efter at de havde opnået stabile faktor IX-niveauer med Hemgenix. Data fra studiet viste, at Hemgenix reducerede den årlige blødningsrate fra 4,2 til 1,5 blødninger om året. Studiet viste også, at Hemgenix var effektivt til at øge faktor IX-niveauerne, idet 96 % af patienterne (52 ud af 54) ikke længere havde behov for faktor IX-erstatningsterapi i op til 2 år efter infusionen.

Hvilke risici er der forbundet med Hemgenix?

De hyppigste bivirkninger ved Hemgenix (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er hovedpine, forhøjede niveauer af visse leverenzzymer og influenzalignende symptomer.

Den fuldstændige liste over bivirkninger ved Hemgenix fremgår af indlægssedlen.

Hemgenix må ikke gives til personer, der er overfølsomme (allergiske) over for et eller flere af indholdsstofferne, eller som har en aktiv eller kronisk (langvarig) infektion, der ikke kontrolleres med lægemidler, eller fremskreden leverfibrose eller levercirrose (ardannelse på leveren).

Hvorfor er Hemgenix godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet havde patienter med svær hæmofili B behov for livslang behandling med faktor IX-erstatningsterapi. Hemgenix givet som en enkelt infusion var effektivt til at forebygge blødning i en periode på mindst 2 år, hvilket gjorde det muligt for patienterne at afbryde behandlingen med faktor IX-erstatningsterapi og dermed gøre behandlingen af sygdommen mindre belastende. Der er en vis usikkerhed med hensyn til, hvor længe fordelene ved Hemgenix varer ved, da hovedstudiet vurderede virkningen hos et lille antal patienter i op til to år. Selv om de langsigtede sikkerhedsdata var begrænsede, blev sikkerhedsprofilen anset for at være acceptabel.

Hemgenix har fået en "betinget godkendelse". Det betyder, at Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Hemgenix opvejer risiciene, men at virksomheden skal fremlægge yderligere dokumentation efter godkendelsen.

En betinget godkendelse gives på grundlag af mindre omfattende data, end der normalt kræves. Det gives til lægemidler, der opfylder et udækket medicinsk behov for at behandle alvorlige sygdomme, og når fordelene ved at gøre dem tilgængelige på et tidligere tidspunkt opvejer eventuelle risici, der er forbundet med at bruge lægemidlerne, mens man afventer yderligere dokumentation. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige, indtil dataene bliver mere omfattende, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Hemgenix?

Da Hemgenix har fået en betinget godkendelse, vil den virksomhed, der markedsfører dette lægemiddel, fremlægge yderligere data fra igangværende studier om lægemidlets langsigtede sikkerhed og virkning, herunder virkningens varighed, hos patienter med svær til moderat svær hæmofili B. Virksomheden vil desuden fremlægge data fra et register over patienter, der er behandlet med Hemgenix, for at undersøge dets sikkerhed og virkning på lang sigt.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Hemgenix?

Den virksomhed, der markedsfører Hemgenix, vil udlevere oplysningsmateriale til patienter eller deres omsorgsgivere og sundhedspersoner om fordele, risici og usikkerheder ved lægemidlets langsigtede virkninger og sikkerhed. Patienterne vil også få udleveret et patientkort med information til sundhedspersoner om, at de har modtaget behandling med Hemgenix.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Hemgenix.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Hemgenix løbende overvåget. Formodede bivirkninger ved Hemgenix vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Hemgenix

Yderligere information om Hemgenix findes på agenturets websted under:

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