



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hemgenix (*Etranacogen dezaparvovec*)

Übersicht über Hemgenix und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Hemgenix und wofür wird es angewendet?

Hemgenix ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen mit schwerer und mittelschwerer Hämophilie B, einer erblichen Blutungsstörung, die durch den Mangel an Faktor IX (einem Protein, das zur Bildung von Blutgerinnseln erforderlich ist, um Blutungen zu stoppen) verursacht wird. Es wird bei Erwachsenen angewendet, die keine Inhibitoren (Proteine, die durch die natürliche Abwehr des Körpers gebildet werden) gegen Faktor IX entwickelt haben.

Hämophilie B ist „selten“, und Hemgenix wurde am 21. März 2018 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix enthält den Wirkstoff Etranacogen dezaparvovec und Gruppe von Arzneimitteln für neuartige Therapien, die „Gentherapeutikum“ genannt werden. Diese Arzneimittel wirken, indem sie Gene in den Körper einbringen.

Wie wird Hemgenix angewendet?

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung muss unter der Aufsicht eines in der Behandlung von Hämophilie und/oder Blutungsstörungen erfahrenen Arztes in einer Einrichtung eingeleitet werden, in der infusionsbedingte Reaktionen sofort behandelt werden können.

Hemgenix wird einmal als einmalige Infusion (Tropfinfusion) in eine Vene über einen Zeitraum von ein bis zwei Stunden gegeben. Die Dosis richtet sich nach dem Körpergewicht des Patienten.

Vor der Infusion werden bei dem Patienten eine Reihe von Tests durchgeführt, darunter Tests zur Überprüfung seiner Leberfunktion und auf das Vorhandensein/zum Nachweis von Faktor-IX-Hemmkörpern. Da es mehrere Wochen dauert, bis Hemgenix Wirkungen zeigt, werden die Patienten nach der Infusion mindestens 3 Monate lang engmaschig überwacht, um zu entscheiden, ob sie eine zusätzliche Behandlung mit einer Faktor-IX-Ersatztherapie benötigen.

Weitere Informationen zur Anwendung von Hemgenix entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

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



Wie wirkt Hemgenix?

Patienten mit Hämophilie B weisen Mutationen (Veränderungen) in einem Gen auf, das der Körper zur Bildung des Gerinnungsproteins Faktor IX benötigt, was zu einem teilweisen oder vollständigen Mangel seiner Aktivität führt.

Der Wirkstoff in Hemgenix, Etranacogen dezaparovec, basiert auf einem Virus, das Kopien des Gens enthält, das für die Bildung von Faktor IX verantwortlich ist. Wenn das Virus dem Patienten gegeben wird, trägt es das Faktor-IX-Gen in die Leberzellen, wodurch diese den fehlenden Faktor IX bilden und dadurch Blutungsepisoden begrenzen können.

Die Art des in diesem Arzneimittel verwendeten Virus (Adeno-assoziiertes Virus) verursacht keine Erkrankung beim Menschen.

Welchen Nutzen hat Hemgenix in den Studien gezeigt?

In einer Studie mit 54 erwachsenen männlichen Patienten mit schwerer oder mittelschwerer Hämophilie B wurde festgestellt, dass Hemgenix Blutungsereignisse wirksamer verringerte als eine Faktor-IX-Substitutionstherapie. In der Studie wurde die Anzahl der Blutungsepisoden, die Patienten mit einer Faktor-IX-Substitutionstherapie über einen Zeitraum von 6 Monaten vor der Gabe von Hemgenix hatten, mit der Anzahl der Blutungsepisoden verglichen, die über einen Zeitraum von einem Jahr nach Erreichen stabiler Faktor-IX-Spiegel unter Hemgenix auftraten. Daten aus der Studie zeigten, dass Hemgenix die jährliche Blutungsrate von 4,2 auf 1,5 Blutungen pro Jahr reduzierte. In der Studie wurde außerdem festgestellt, dass Hemgenix die Faktor-IX-Spiegel wirksam erhöhte, wobei 96 % der Patienten (52 von 54) bis zu 2 Jahre nach der Infusion keine Faktor-IX-Ersatztherapie mehr benötigten.

Welche Risiken sind mit Hemgenix verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Hemgenix (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Kopfschmerzen, erhöhte Konzentrationen bestimmter Leberenzyme und grippeähnliche Symptome.

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Hemgenix berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Hemgenix darf nicht bei Patienten angewendet werden, die überempfindlich (allergisch) gegen einen der Bestandteile sind, die an einer aktiven oder chronischen (langfristigen) Infektion leiden, die nicht durch Arzneimittel kontrolliert wird, oder die an fortgeschrittener Leberfibrose oder Leberzirrhose (Vernarbung der Leber) leiden.

Warum wurde Hemgenix in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung benötigten Patienten mit schwerer Hämophilie B eine lebenslange Behandlung mit einer Faktor-IX-Ersatztherapie. Hemgenix als Einzelinfusion verhinderte Blutungen über einen Zeitraum von mindestens 2 Jahren wirksam und ermöglichte es den Patienten, die Behandlung mit einer Faktor-IX-Substitutionstherapie abzusetzen, wodurch die durch die Behandlung der Erkrankung verursachte Belastung verringert wurde. Angesichts der Tatsache, dass in der Hauptstudie das Ansprechen bei einer kleinen Anzahl von Patienten bis zu 2 Jahre lang bewertet wurde, bestehen einige Unsicherheiten bezüglich der Dauer des Nutzens von Hemgenix last. Obwohl die Daten zur Langzeitsicherheit begrenzt sind, wurde das Sicherheitsprofil als akzeptabel erachtet.

Hemgenix wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass die Europäische Arzneimittel-Agentur zu dem Schluss kam, dass der Nutzen von Hemgenix gegenüber den Risiken überwiegt, das Unternehmen jedoch nach der Zulassung weitere Nachweise bereitstellen muss.

Die Zulassung unter „Besonderen Bedingungen“ wird auf der Grundlage weniger umfassender Daten erteilt, als normalerweise erforderlich sind. Sie wird für Arzneimittel gewährt, die eine Behandlungslücke für schwere Erkrankungen schließen und bei denen der Nutzen einer früheren Verfügbarkeit der Arzneimittel gegenüber den Risiken der Anwendung überwiegt, während auf weitere Nachweise gewartet wird. Bis Daten im erforderlichen Umfang vorliegen, wird die Europäische Arzneimittel-Agentur jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Übersicht wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Hemgenix noch erwartet?

Da Hemgenix eine Zulassung unter „Besonderen Bedingungen“ erteilt wurde, wird das Unternehmen, das dieses Arzneimittel in Verkehr bringt, zusätzliche Daten aus laufenden Studien zur langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels, einschließlich der Dauer des Ansprechens, bei Patienten mit schwerer bis mittelschwerer Hämophilie B vorlegen. Das Unternehmen wird außerdem Daten aus einem Register der mit Hemgenix behandelten Patienten zur Untersuchung seiner langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit vorlegen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Hemgenix ergriffen?

Das Unternehmen, das Hemgenix in Verkehr bringt, wird Patienten oder deren Betreuungspersonen sowie Angehörigen der Heilberufe Schulungsmaterialien mit Informationen über den Nutzen, die Risiken und die Unsicherheiten in Bezug auf die langfristigen Wirkungen und die Sicherheit des Arzneimittels bereitstellen. Den Patienten muss außerdem eine Patientenkarte ausgehändigt werden, um das medizinische Fachpersonal darüber zu informieren, dass sie mit Hemgenix behandelt wurden.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Hemgenix, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Hemgenix kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Hemgenix werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Hemgenix

Weitere Informationen zu Hemgenix finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix