



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Hemgenix (*etranacogén dezaparvovec*)

Información general sobre Hemgenix y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Hemgenix y para qué se utiliza?

Hemgenix es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de adultos con hemofilia B grave y moderadamente grave, un trastorno hemorrágico hereditario causado por la deficiencia del factor IX (una proteína necesaria para producir coágulos de sangre para detener las hemorragias). Se utiliza en adultos que no han desarrollado inhibidores (proteínas producidas por las defensas naturales del organismo) frente al factor IX.

La hemofilia B es una enfermedad «rara», y Hemgenix fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 21 de marzo de 2018. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Hemgenix contiene el principio activo etranacogén dezaparvovec y es un tipo de medicamento de terapia avanzada denominado «medicamento de terapia génica», es decir, un tipo de medicamento que actúa introduciendo genes en el organismo.

### ¿Cómo se usa Hemgenix?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento debe iniciarse bajo la supervisión de un médico con experiencia en el tratamiento de la hemofilia o los trastornos hemorrágicos, en una instalación equipada para tratar rápidamente las reacciones relacionadas con la perfusión.

Hemgenix se administra una vez, en una única perfusión (goteo) en una vena que dura entre una y dos horas. La dosis se calcula en función del peso del paciente.

Antes de recibir la perfusión, el paciente deberá someterse a una serie de pruebas, incluidas pruebas para evaluar la salud del hígado y para detectar la presencia de inhibidores del factor IX. Dado que pasarán varias semanas antes de que se observen los efectos de Hemgenix, se vigilará estrechamente a los pacientes durante al menos 3 meses después de la perfusión para decidirse necesitan recibir adicionalmente un tratamiento de sustitución del factor IX.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Para mayor información sobre el uso de Hemgenix, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

## **¿Cómo actúa Hemgenix?**

Los pacientes con hemofilia B presentan mutaciones (modificaciones) en un gen que el organismo necesita para producir la proteína de coagulación del factor IX lo que resulta en una deficiencia parcial o completa de su actividad

El principio activo de Hemgenix, el etranacogén dezaparvovec, se basa en un virus que contiene copias del gen responsable de producir el factor IX. Cuando se administra al paciente, el virus lleva el gen del factor IX a las células hepáticas, lo que les permite producir el factor IX que falta y, por tanto, limitar los episodios hemorrágicos.

El tipo de virus utilizado en este medicamento (el virus adenoasociado) no causa enfermedad en humanos.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Hemgenix en los estudios realizados?**

En un estudio en el que participaron 54 pacientes varones adultos con hemofilia B grave o moderadamente grave se observó que Hemgenix era más eficaz para reducir los episodios hemorrágicos que el tratamiento de sustitución del factor IX. En el estudio se comparó el número de episodios hemorrágicos que los pacientes tuvieron con el tratamiento de sustitución con factor IX durante un período de 6 meses previo a la administración de Hemgenix con el número de episodios hemorrágicos experimentados durante un período de 1 año después de alcanzar niveles estables de factor IX con Hemgenix. Los datos del estudio demostraron que Hemgenix reducía la tasa de hemorragia anual de 4,2 a 1,5 sangrados al año. En el estudio también se observó que Hemgenix era eficaz para aumentar los niveles de factor IX, ya que el 96 % de los pacientes (52 de 54) ya no necesitaban tratamiento de sustitución del factor IX hasta 2 años después de la perfusión.

## **¿Cuál es el riesgo asociado a Hemgenix?**

Los efectos adversos más frecuentes de Hemgenix (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son dolor de cabeza, aumento de los niveles de determinadas enzimas hepáticas y síntomas de tipo gripal.

La lista completa de efectos adversos notificados de Hemgenix se puede consultar en el prospecto.

Hemgenix no debe administrarse a personas hipersensibles (alérgicas) a cualquiera de sus componentes, que tengan una infección activa o crónica (a largo plazo) que no esté controlada con medicamentos, o que tengan fibrosis hepática avanzada o cirrosis hepática (formación de cicatrices en el hígado).

## **¿Por qué se ha autorizado Hemgenix en la UE?**

En el momento de la autorización, los pacientes con hemofilia B grave necesitaban un tratamiento de por vida con la terapia de sustitución del factor IX. Hemgenix, administrado en una única perfusión, fue eficaz para prevenir las hemorragias durante un período de al menos 2 años, lo que permitió a los pacientes interrumpir el tratamiento de sustitución del factor IX, lo que reduce las molestias derivadas de tratar la enfermedad. Existen algunas incertidumbres sobre la duración de los beneficios de Hemgenix, dado que el estudio principal evaluó la respuesta en un pequeño número de pacientes durante un máximo de 2 años. Aunque los datos de seguridad a largo plazo eran limitados, el perfil de seguridad se consideró aceptable.

A Hemgenix se le ha concedido una «autorización condicional». Esto significa que la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Hemgenix son mayores que sus riesgos, pero la compañía tendrá que aportar pruebas adicionales tras la autorización.

La autorización condicional se concede basándose en datos menos exhaustivos de lo que se requiere normalmente. Se concede para los medicamentos que satisfacen una necesidad médica no cubierta de tratar enfermedades graves y cuando los beneficios de disponer antes de esos medicamentos superan los riesgos asociados al uso de los medicamentos mientras se esperan más pruebas. La Agencia Europea de Medicamentos revisará anualmente la información más reciente que esté disponible hasta que los datos sean completos y actualizará esta información general cuando sea necesario.

### **¿Qué información falta todavía sobre Hemgenix?**

Dado que a Hemgenix se le ha concedido una autorización condicional, la compañía que lo comercializa proporcionará datos adicionales de los estudios en curso sobre la seguridad y la eficacia a largo plazo del medicamento, incluida la duración de la respuesta, en pacientes con hemofilia B grave o moderadamente grave. La compañía también facilitará datos de un registro de pacientes tratados con Hemgenix para estudiar su seguridad y eficacia a largo plazo.

### **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Hemgenix?**

La compañía que comercializa Hemgenix proporcionará materiales educativos a los pacientes o sus cuidadores y a los profesionales sanitarios, con información sobre los beneficios, los riesgos y las incertidumbres sobre los efectos a largo plazo y la seguridad del medicamento. Los pacientes también deberán recibir una tarjeta de paciente para informar a los profesionales sanitarios de que han sido tratados con Hemgenix.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Hemgenix se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Hemgenix se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Hemgenix se evalúan cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

### **Otra información sobre Hemgenix**

Puede encontrar información adicional sobre Hemgenix en la página web de la Agencia:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemgenix)