



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Hemgenix (*etranacogene dezaparvovec*)

Ħarsa ġenerali lejn Hemgenix u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Hemgenix u għal xiex jintuża?

Hemgenix huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' adulti b'emofilja B severa u moderatament severa, disturb ta' tnixxija anormali ta' demm li jintiret ikkawżat min-nuqqas tal-fattur IX (proteina meħtieġa biex tipproduċi koagulazzjonijiet għat-twaqqaf tat-tnixxija anormali ta' demm). Jintuża f'adulti li ma jkunux żviluppaw inibituri (proteini magħmulin mid-difiżi naturali tal-ġisem) kontra l-fattur IX.

L-emofilja B hija rari, u Hemgenix ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fil-21 ta' Marzu 2018. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn:

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

Hemgenix fih is-sustanza attiva etranacogene dezaparvovec u huwa tip ta' mediċina ta' terapija avvanzata msejġha "prodott ta' terapija tal-ġeni". Dan huwa tip ta' mediċina li taħdem billi tittrasferixxi ġeni fil-ġisem.

### Kif jintuża Hemgenix?

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. It-trattament għandu jinbeda taħt is-supervizjoni ta' tabib b'esperjenza fit-trattament ta' emofilja u/jew disturbi ta' tnixxijiet anormali ta' demm, f'faċilità mgħammra sabiex tittratta reazzjonijiet relatati mal-infużjoni minnufih.

Hemgenix jingħata darba, bħala infużjoni waħda (dripp) ġo vina li ddum bejn siegħa u sagħtejn. Id-doża tiddependi mill-piż tal-ġisem tal-pazjent.

Qabel ma jirċievi l-infużjoni, il-pazjent isirulu għadd ta' testijiet, inklużi testijiet biex tiġi ċċekkjata s-saħħa tal-fwied tiegħu u jekk għandux inibituri tal-fattur IX. Peress li ser jgħaddu diversi ġimgħat qabel Hemgenix juri xi effetti, il-pazjenti ser jiġu mmonitorjati mill-qrib għal tal-inqas 3 xhur wara l-infużjoni biex jiġi deċiż jekk għandhomx bżonn trattament addizzjonali b'terapija ta' sostituzzjoni tal-fattur IX.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Hemgenix, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

---

**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



## **Kif jaħdem Hemgenix?**

Pazjenti b'emofilja B għandhom mutazzjonijiet (bidliet) f'gene li l-gisem jeħtieġ biex jipproduci l-proteina ta' koagulazzjoni tal-Fattur IX, u dan jirriżulta jew f'nuqqas parzjali jew totali tal-attività tiegħu.

Is-sustanza attiva f'Hemgenix, l-etranacogene dezaparvovec, hija bbażata fuq virus li fih kopji tal-gene responsabbli għall-produzzjoni tal-fattur IX. Meta jingħata lill-pazjent, il-virus iġorr il-gene tal-fattur IX fiċ-ċelloli tal-fwied, u dan jippermettilhom jipproducu l-fattur IX nieqes u b'hekk jillimitaw l-episodji ta' tnixxijiet anormali ta' demm.

It-tip ta' virus użat f'din il-medicina (virus assoċjat mal-adeno) ma jikkawżax mard fil-bnedmin.

## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Hemgenix li ħarġu mill-istudji?**

Studju f'54 pazjent raġel adult b'emofilja B severa jew moderatament severa sab li Hemgenix kien aktar effettiv fit-tnaqqis ta' avvenimenti ta' tnixxijiet anormali ta' demm mit-terapija ta' sostituzzjoni tal-fattur IX. L-istudju qabbel in-numru ta' episodji ta' tnixxijiet anormali ta' demm li l-pazjenti kellhom b'terapija ta' sostituzzjoni tal-fattur IX matul perjodu ta' 6 xhur qabel ma rċevew Hemgenix man-numru esperjenzat fuq perjodu ta' sena wara li kisbu livelli stabbli tal-fattur IX b'Hemgenix. *Data* mill-istudju wriet li Hemgenix naqqas ir-rata ta' tnixxija anormali ta' demm fis-sena minn 4.2 għal 1.5 tnixxija fis-sena. L-istudju sab ukoll li Hemgenix kien effettiv biex iżid il-livelli tal-fattur IX, b'96 % tal-pazjenti (52 minn 54) ma jkollhomx bżonn aktar terapija ta' sostituzzjoni tal-fattur IX sa sentejn wara l-infużjoni.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Hemgenix?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Hemgenix (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma wġiġh ta' ras, żieda fil-livelli ta' ċerti enzimi tal-fwied u sintomi li jixbhu lil dawk tal-influenza.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji ta' Hemgenix, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Hemgenix m'għandux jingħata lil persuni li huma ipersensittivi (allergici) għal kwalunkwe wieħed mill-ingredjenti tiegħu, li għandhom infezzjoni attiva jew kronika (fit-tul) li mhijiex ikkontrollata bil-medicini, jew li għandhom fibrozi tal-fwied avanzata jew ċirrozi tal-fwied (ċikatriċi tal-fwied).

## **Għaliex Hemgenix ġie awtorizzat fl-UE?**

Fiż-żmien tal-approvazzjoni, il-pazjenti b'emofilja B severa kienu jeħtieġu trattament tul il-ħajja b'terapija ta' sostituzzjoni tal-fattur IX. Hemgenix, mogħti bħala infużjoni waħda, kien effettiv fil-prevenzjoni tat-tnixxija anormali ta' demm fuq perjodu ta' mill-inqas sentejn, b'hekk jippermetti lill-pazjenti jwaqqfu t-trattament b'terapija ta' sostituzzjoni tal-fattur IX, li jnaqqas il-piż ikkawżat mit-trattament tal-marda. Hemm xi incertezzi dwar kemm idumu l-benefiċċji ta' Hemgenix, minħabba li l-istudju ewlieni evalwa r-rispons f'numru żgħir ta' pazjenti għal mhux aktar minn sentejn. Għalkemm id-*data* dwar is-sigurtà fit-tul kienet limitata, il-profil tas-sigurtà tqies acċettabbli.

Hemgenix ingħata "awtorizzazzjoni kkundizzjonata". Dan ifisser li l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Hemgenix huma akbar mir-riskji tiegħu, iżda l-kumpanija ser ikollha tipprovdi evidenza addizzjonali wara l-awtorizzazzjoni.

L-awtorizzazzjoni kkundizzjonata tingħata fuq il-baži ta' *data* inqas komprensiva minn dik li normalment tkun meħtieġa. Din tingħata għal medicini li jissodisfaw ħtieġa medika mhux issodisfata biex jittrattaw mard serju u meta l-benefiċċji li jkun hemm meta jkunu disponibbli aktar kmieni jkunu

akbar minn kwalunkwe riskju assoċjat mal-użu tal-mediċini waqt l-istennija għal aktar evidenza. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ser tirrieżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli sakemm id-*data* ssir komprensiva u din il-harsa ġenerali tiġi aġġornata kif meħtieġ.

## **Liema informazzjoni għadha mistennija għal Hemgenix?**

Minhabba li Hemgenix ingħata awtorizzazzjoni kkundizzjonata, il-kumpanija li tqiegħed din il-mediċina fis-suq ser tipprovdi *data* addizzjonali minn studji li għadhom għaddejjin dwar is-sigurtà u l-effikaċja fit-tul tal-mediċina, inkluż kemm idum ir-rispons, f'pazjenti b'emofilja B severa sa moderatament severa. Il-kumpanija ser tipprovdi wkoll *data* minn registru ta' pazjenti ttrattati b'Hemgenix biex tistudja s-sigurtà u l-effikaċja fit-tul tiegħu.

## **X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Hemgenix?**

Il-kumpanija li tqiegħed Hemgenix fis-suq ser tipprovdi materjal edukattiv lill-pazjenti jew lil dawk li jieħdu ħsiebhom u lill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa, b'informazzjoni dwar il-benefiċċji, ir-riskji u l-inċertezzi dwar l-effetti u s-sigurtà fit-tul tal-mediċina. Il-pazjenti għandhom jingħataw ukoll kard tal-pazjenti biex jinfurmaw lill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa li ġew ikkurati b'Hemgenix.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Hemgenix.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Hemgenix hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrappurtati b'Hemgenix huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

## **Informazzjoni oħra dwar Hemgenix**

Aktar informazzjoni dwar Hemgenix tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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