



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Hemgenix (*etranakogén-dezaparovok*)

Prehľad o lieku Hemgenix a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Hemgenix a na čo sa používa?

Liek Hemgenix sa používa na liečbu dospelých so závažnou a stredne závažnou hemofíliou B, dedičnou poruchou krvácania zapríčinenou nedostatkom faktora IX (proteínu potrebného na tvorbu krvných zrazenín, aby sa zastavilo krvácanie). Používa sa u dospelých, u ktorých sa nevyvinuli inhibítory (proteíny vytvárané prirodzeným obranným systémom tela) proti faktoru IX.

Hemofília B je zriedkavá, a preto bol liek Hemgenix 21. marca 2018 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu:

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

Liek Hemgenix obsahuje liečivo etranakogén-dezaparovok a je to druh lieku na inovatívnu liečbu, označovaný ako tzv. liek na génovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý účinkuje tak, že telu dodáva gény.

### Ako sa liek Hemgenix používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis. Liečba sa musí začať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s liečbou hemofílie a/alebo porúch krvácania, v zariadení, ktoré je vybavené na rýchlu liečbu reakcií súvisiacich s infúziou.

Liek Hemgenix sa podá jedenkrát vo forme jednej infúzie (na kvapkanie) do žily v trvaní jednej až dvoch hodín. Dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta.

Pred podaním infúzie pacient podstúpi niekoľko testov vrátane krvného obrazu na kontrolu pečene a na zistenie, či má inhibítory faktora IX. Keďže to bude niekoľko týždňov predtým, ako liek Hemgenix preukáže akékoľvek účinky, pacienti budú pozorne sledovaní najmenej 3 mesiace po infúzii, aby sa rozhodlo, či je potrebná ďalšia substitučná liečba faktorom IX.

Viac informácií o používaní lieku Hemgenix si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

### Akým spôsobom liek Hemgenix účinkuje?

Pacienti s hemofíliou B majú mutácie (zmeny) v géne, ktorý telo potrebuje na tvorbu faktora IX, čo je proteín spôsobujúci zrážanlivosť krvi, a preto je jeho činnosť nedostatočná alebo úplne chýba.

---

**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



Liečivo lieku Hemgenix, etranakogén-dezaparvovek, je na báze vírusu, ktorý obsahuje kópie génu zodpovedného za tvorbu faktora IX. Po podaní lieku pacientovi vírus preniesie gén faktora IX do pečňových buniek, čo im umožní vytvárať chýbajúci faktor IX a tým obmedziť epizódy krvácania.

Druh vírusu v tomto lieku (adeno-asociovaný vírus) nespôsobuje ochorenie u ľudí.

## **Aké prínosy lieku Hemgenix boli preukázané v štúdiách?**

V štúdiu, na ktorej sa zúčastnilo 54 dospelých pacientov mužského pohlavia so závažnou alebo stredne závažnou hemofíliou B, sa zistilo, že liek Hemgenix je pri znižovaní počtu udalostí krvácania účinnejší ako substitučná liečba faktorom IX. V štúdiu sa porovnával počet epizód krvácania, ktoré pacienti mali pri substitučnej liečbe faktorom IX počas 6 mesiacov pred podaním lieku Hemgenix, a počet epizód pozorovaných počas 1 roka po dosiahnutí stabilných hladín faktora IX pri používaní lieku Hemgenix. Na základe údajov zo štúdie sa preukázalo, že liek Hemgenix znížil ročnú mieru krvácania zo 4,2 na 1,5. V štúdiu sa tiež zistilo, že liek Hemgenix bol účinný pri zvyšovaní hladiny faktora IX, pričom 96 % pacientov (52 z 54) už nepotrebovalo substitučnú liečbu faktorom IX počas 2 rokov po infúzii.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Hemgenix?**

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Hemgenix (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú bolesť hlavy, zvýšené hladiny určitých pečňových enzýmov a symptómy podobné chrípke.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Hemgenix sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Hemgenix sa nesmie podávať osobám, ktoré sú precitlivené (alergické) na ktorúkoľvek z jeho zložiek, majú aktívnu alebo chronickú (dlhodobú) infekciu, ktorá nie je kontrolovaná liekmi, alebo majú pokročilú fibrózu pečene alebo cirhózu pečene (zjazvenie pečene).

## **Prečo bol liek Hemgenix povolený v EÚ?**

V čase povolenia lieku potrebovali pacienti so závažnou hemofíliou B celoživotnú substitučnú liečbu faktorom IX. Liek Hemgenix podávaný ako jedna infúzia bol účinný pri prevencii krvácania minimálne počas dvoch rokov, čo pacientom umožnilo prerušiť substitučnú liečbu faktorom IX, čím sa zmiernila záťaž spôsobená liečbou ochorenia. Existujú určité nejasnosti, pokiaľ ide o to, ako dlho trvajú prínosy lieku Hemgenix, pretože v hlavnej štúdiu sa hodnotila odpoveď len u malého počtu pacientov počas dvoch rokov. Hoci sú údaje o dlhodobej bezpečnosti obmedzené, bezpečnostný profil sa považoval za prijateľný.

Liek Hemgenix bol povolený s podmienkou. To znamená, že Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Hemgenix sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním, ale spoločnosť bude musieť po povolení predložiť ďalšie dôkazy.

Povolenie s podmienkou sa vydáva na základe menej komplexných údajov, ako sa zvyčajne vyžaduje. Udeľuje sa liekom, ktoré spĺňajú nenaplnenú liečebnú potrebu závažných chorôb a ak prínos ich skoršieho uvedenia na trh prevýši riziká spojené s ich používaním počas čakania na ďalšie dôkazy. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie dovtedy, kým nebudú údaje úplné a tento prehľad sa podľa potreby aktualizuje.

## **Aké informácie o lieku Hemgenix dosiaľ neboli predložené?**

Kedže liek Hemgenix bol povolený s podmienkou, spoločnosť, ktorá tento liek uvádza na trh, predloží ďalšie údaje z prebiehajúcich štúdií o dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku aj o trvaní odpovede u

pacientov so závažnou až stredne závažnou hemofíliou B. Spoločnosť tiež predloží údaje z registra pacientov liečených liekom Hemgenix na preskúmanie jeho dlhodobej bezpečnosti a účinnosti.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Hemgenix?**

Spoločnosť, ktorá liek Hemgenix uvádza na trh, poskytne vzdelávacie materiály pre pacientov alebo ich opatrovateľov a zdravotníckych pracovníkov s informáciami o prínosoch, rizikách a neistotách týkajúcich sa dlhodobých účinkov a bezpečnosti lieku. Pacienti musia dostať aj kartu pacienta informujúcu zdravotníckych pracovníkov, že boli liečení liekom Hemgenix.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Hemgenix boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Hemgenix sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Hemgenix sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Hemgenix**

Ďalšie informácie o lieku Hemgenix sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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