



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2022 m. gegužės 20 d.  
EMA/267926/2022  
EMA/H/C/005547

## Paraiškos gauti HemAryo (eptakogas alfa (aktyvintas)) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „UGA Biopharma“ atsiėmė savo paraišką gauti vaisto HemAryo, skirto kraujo krešėjimo sutrikimų turintiems pacientams pasireiškiančių kraujavimo epizodų gydymui ir kraujavimo profilaktikai po chirurginių operacijų, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė atsiėmė paraišką 2022 m. gegužės 6 d.

### Kas yra HemAryo ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

HemAryo buvo sukurtas kaip vaistas, skirtas kraujavimo epizodų gydymui ir kraujavimo profilaktikai po chirurginių operacijų ar invazinių procedūrų pacientams, kurie:

- serga paveldėtąja hemofilija (nuo gimimo pasireiškiantis kraujo krešėjimo sutrikimas), kuriems išsivystė arba tikėtina, kad išsivystys VIII ar IX faktoriaus (kraujo krešėjime dalyvaujančių baltymų) inhibitorių (antikūnų);
- serga įgyta hemofilija (kraujavimo liga, kurią sukelia VIII faktoriaus inhibitorių išsivystymas);
- serga paveldėtu VII faktoriaus nepakankamumu;
- serga Glancmano (Glanzmann) trombastenija (retu kraujo krešėjimo sutrikimu) ir kurių negalima gydyti trombocitų masės (kraujui krešėti padedančių komponentų) perpylimu.

HemAryo sudėtyje yra veikliosios medžiagos eptakogo alfa, ir jį buvo numatyta tiekti miltelių ir tirpiklio, iš kurių ruošiamas į veną švirkščiamas tirpalas, forma.

HemAryo buvo kuriamas kaip biologiškai panašus vaistas. Tai reiškia, kad buvo numatyta, jog HemAryo bus labai panašus į kitą biologinį vaistą, kuris jau registruotas ES (dar vadinamą referenciniu vaistu). Referencinis HemAryo vaistas yra NovoSeven. Daugiau informacijos apie panašius biologinius vaistus rasite [čia](#).

### Kaip veikia HemAryo?

HemAryo veiklioji medžiaga, eptakogas alfa, yra beveik tapatus žmogaus proteinui VII faktoriui. Eptakogas alfa veikia taip pat kaip VII faktorius. Žmogaus organizme VII faktorius dalyvauja kraujo krešėjimo procese. Jis aktyvuoja kitą faktorių, vadinamąjį X faktorių, kuris sukelia krešėjimo procesą.

---

**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



Aktyvuodamas X faktorių, eptakogas alfa suteikia galimybę laikinai kontroliuoti kraujo krešėjimo sutrikimą.

Kadangi VII faktorius tiesiogiai veikia X faktorių, nepriklausomai nuo VIII ir IX faktorių, eptakogas alfa gali būti naudojamas hemofilija sergantiems pacientams, kurių organizme atsirado VIII ar IX faktoriaus inhibitorių, ir siekiant pakeisti trūkstamą VII faktorių pacientams, kurių organizme nustatytas VII faktoriaus trūkumas.

## **Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?**

Bendrovė pateikė laboratorinių tyrimų, kuriuose HemAryo buvo lyginamas su referenciniu vaistu, rezultatus, kad ištirtų, ar savo struktūra, grynumu ir biologiniu aktyvumu HemAryo veikloji medžiaga labai panaši į NovoSeven veikliąją medžiagą.

Taip pat buvo pateikti dviejų klinikinių tyrimų rezultatai, kuriais siekta įrodyti, kad vartojant HemAryo pacientų organizme susidaranti veikliosios medžiagos koncentracija yra panaši į susidarantią vartojant referencinį vaistą, ir kad jo veiksmingumas gali būti panašus į NovoSeven.

## **Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?**

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra buvo įvertinusi bendrovės pateiktą pirminę informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė nebuvo atsakiusi į šiuos klausimus.

## **Kokia tuo metu buvo Agentūros rekomendacija?**

Remdamasi peržiūrėtais duomenimis, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra dar turėjo abejonų ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad HemAryo negali būti registruotas kraujo krešėjimo sutrikimų turintiems pacientams pasireiškiančių kraujavimo epizodų gydymui ir kraujavimo profilaktikai po chirurginių operacijų.

Agentūrai iškilo abejonų dėl to, kaip vaistas buvo gaminamas, todėl iškilo dvejonų dėl vaisto kokybės. Agentūra taip pat turėjo abejonų dėl tyrimų, kurių metu HemAryo buvo lyginamas su referenciniu vaistu, modelio ir atlikimo.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra negalėjo padaryti išvadų, ar HemAryo yra labai panašus į referencinį vaistą, ir priėjo prie išvados, kad, remiantis bendrovės pateiktais duomenimis, šio vaisto registruoti negalima.

## **Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?**

[Laiške](#), kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė paraišką atsiimanti dėl svarbių su gamyba susijusių problemų.

## **Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?**

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad visi HemAryo klinikiniai tyrimai yra baigti.