

Rapporto sintetico di omologazione del 11.02.2025

Hemgenix[®] (principio attivo: etranacogene dezaparvovec)

Omologazione in Svizzera: 07.12.2023

Medicamento per terapia genica indicato per il trattamento di uomini adulti affetti da emofilia B al fine di ridurre la frequenza degli episodi di sanguinamento.

Informazioni sul medicamento

Hemgenix contiene il principio attivo etranacogene dezaparvovec. Questo medicamento è un medicamento per terapia genica, omologato per il trattamento di uomini adulti affetti da emofilia B di grado da moderato a grave. L'emofilia B è una malattia ereditaria che si presenta con una carenza del fattore IX, una proteina essenziale per la coagulazione del sangue. Ne consegue una maggiore tendenza al sanguinamento, sia all'interno del corpo – come nelle articolazioni o

nei muscoli – sia all'esterno del corpo, come nel caso di tagli o lesioni. Si possono verificare sanguinamenti potenzialmente letali o sanguinamenti spontanei gravi e ripetuti.

Poiché l'emofilia B è una malattia rara potenzialmente letale, il medicamento è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali per le malattie rare.

Meccanismo d'azione

Nei pazienti con emofilia B, il fegato non può produrre il fattore IX necessario per la coagulazione del sangue, poiché il gene necessario allo scopo è manchevole. Con Hemgenix è possibile correggere questo difetto genetico. Il principio attivo di Hemgenix si basa su un virus che non provoca malattie

negli esseri umani. Il virus è stato modificato per impedirne la diffusione nel corpo, ma è in grado di trasportare una copia funzionante del gene del fattore IX nelle cellule epatiche, così che queste possano produrre il fattore IX. Questo processo aiuta a normalizzare la coagulazione del sangue e a ridurre il rischio di sanguinamento.

Impiego

Hemgenix è soggetto all'obbligo di prescrizione medica.

Il medicamento è disponibile come concentrato per la preparazione di una soluzione per infusione. La dose raccomandata è di 2×10^{13} copie di genoma per chilogrammo di

peso corporeo. Hemgenix viene somministrato una sola volta, con un'unica infusione lenta in vena dopo essere stato diluito. Per tutta la durata dell'infusione e per almeno 3 ore dopo, i pazienti devono essere monitorati attentamente da una medica o un medico. Si possono verificare delle reazioni, come nel caso di ipersensibilità all'infusione.

Efficacia

L'efficacia di Hemgenix è stata valutata in uno studio con 54 pazienti maschi con emofilia B di grado da moderato a grave. I pazienti hanno ricevuto una dose unica di etranacogene dezaparvovec per infusione endovenosa e sono stati sottoposti a follow-up per almeno 18 mesi. Il trattamento ha comportato un aumento significativo dell'attività del fattore IX, il che ha ridotto notevolmente il tasso di sanguinamento nei pazienti

e ha fatto diminuire la necessità di ricorrere a una terapia sostitutiva con fattore IX.

Lo studio ha evidenziato inoltre una riduzione del tasso di sanguinamenti annualizzato del 64%, passando da una media di 4,19 sanguinamenti nel periodo precedente la somministrazione di Hemgenix a una media di 1,51 sanguinamenti nei mesi 7-18 dopo il trattamento.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Hemgenix non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi sostanza ausiliaria.

Gli effetti indesiderati più comuni sono aumento dell'alanina aminotransferasi (un en-

zima epatico) (18%), mal di testa (16%), patologia simil-influenzale (14%) e reazioni dovute all'infusione (12%). Tutte le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

Motivazione della decisione di omologazione

Attualmente, non esistono opzioni terapeutiche per uomini adulti con emofilia B di grado da moderato a grave, che soffrono di sanguinamenti potenzialmente letali o gravi sanguinamenti spontanei recidivanti, in grado di curare la malattia. Dagli studi clinici è emerso che con Hemgenix si possono ridurre gli episodi di sanguinamento e diminuire il bisogno di terapie sostitutive con fattore IX. Il trattamento di pazienti con emofi-

lia B con Hemgenix ha comportato una significativa riduzione del tasso di sanguinamento e delle relative complicanze.

Sulla base dei dati disponibili e tenendo conto di tutti i rischi (come l'aumento degli enzimi epatici) e delle misure precauzionali, i benefici di Hemgenix superano i rischi. Swissmedic ha pertanto omologato in Svizzera il medicamento Hemgenix, che contiene il principio attivo etranacogene dezaparvovec.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [Informazione professionale di Hemgenix®](#)

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo): [Informazione destinata alle/ai pazienti di Hemgenix®](#)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Rapporto sintetico di omologazione.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.