

Kurzbericht Arzneimittelzulassung vom 11.02.2025

Hemgenix[®] (Wirkstoff: Etranacogene dezaparvovec)

Zulassung in der Schweiz: 07.12.2023

Gentherapeutikum zur Behandlung von Hämophilie B erkrankten männlichen Erwachsenen zur Reduktion der Blutungshäufigkeit

Über das Arzneimittel

Hemgenix enthält den Wirkstoff Etranacogene dezaparvovec. Dieses Medikament ist ein Gentherapeutikum, welches zur Behandlung von erwachsenen männlichen Patienten mit schwerer oder mittelschwerer Hämophilie B zugelassen ist. Hämophilie B ist eine Erbkrankheit, bei der ein Mangel an Faktor IX, einem wichtigen Blutgerinnungsprotein, vorliegt. Dies führt zu einer erhöhten Blutungsneigung, sowohl innerhalb des Körpers, wie in den Gelenken oder Muskeln,

als auch ausserhalb des Körpers, wie bei Schnitten oder Verletzungen. Es können lebensbedrohliche Blutungen oder wiederkehrende schwere Spontanblutungen auftreten.

Da es sich bei der Hämophilie B um eine seltene und lebensbedrohende Krankheit handelt, wurde das Arzneimittel als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet.

Wirkung

Bei Hämophilie-B-Patienten kann die Leber den für die Blutgerinnung notwendigen Faktor IX nicht produzieren, da das notwendige Gen für diesen Faktor IX defekt ist. Hemgenix kann diesen genetischen Defekt korrigieren. Der Wirkstoff von Hemgenix basiert auf einem Virus, das beim Menschen keine Erkrankung verursacht. Dieses

Virus wurde so verändert, dass es sich im Körper nicht verbreitet, aber eine funktionsfähige Kopie des Faktor-IX-Gens in die Leberzellen transportieren kann. Die Leberzellen können daraufhin den Faktor IX produzieren. Dies hilft, die Blutgerinnung zu normalisieren und das Blutungsrisiko zu reduzieren.

Anwendung

Hemgenix ist rezeptpflichtig.

Das Arzneimittel ist als Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung erhältlich. Die empfohlene Dosis beträgt 2×10^{13} Genomkopien pro Kilogramm Körpergewicht. Die verdünnte Lösung wird einmalig als langsame Infusion in die Vene verabreicht. Der

Patient muss während und mindestens 3 Stunden nach der Verabreichung von Hemgenix ärztlich überwacht werden. Es können infusionsbedingte Reaktionen auftreten, einschliesslich Überempfindlichkeitsreaktionen.

Wirksamkeit

Die Wirksamkeit von Hemgenix wurde in einer Studie mit 54 männlichen Patienten mit mittelschwerer oder schwerer Hämophilie B untersucht. Die Patienten erhielten eine einmalige Dosis von Etranacogene dezaparvovec in die Vene und wurden für mindestens 18 Monate nachbeobachtet. Die Behandlung führte zu einem signifikanten Anstieg der Faktor-IX-Aktivität, wodurch die

Blutungsrate der Patienten erheblich reduziert wurde und der Bedarf an einer Faktor-IX-Ersatztherapie sank.

Die Studie zeigte zudem eine Reduktion der jährlichen Blutungsrate um 64 % von einem Durchschnitt von 4,19 Blutungen im Zeitraum vor der Gabe von Hemgenix auf einen Durchschnitt von 1,51 Blutungen in den Monaten 7-18 nach der Behandlung

Vorsichtsmassnahmen, unerwünschte Wirkungen & Risiken

Hemgenix darf bei einer Überempfindlichkeit gegenüber dem Wirkstoff oder einem der Hilfsstoffe nicht angewendet werden.

Die häufigsten unerwünschten Wirkungen sind erhöhte Alanin-Aminotransferase (ein Leberenzym) (18 %), Kopfschmerzen (16 %),

grippeähnliche Erkrankung (14 %) und Reaktionen im Zusammenhang mit der Infusion (12 %). Alle Vorsichtsmassnahmen, Risiken und weitere mögliche unerwünschte Wirkungen sind in der Patientinnen- und Patienteninformation (Packungsbeilage) sowie in der Fachinformation aufgeführt.

Begründung des Zulassungsentscheids

Es gibt derzeit keine Therapieoptionen für erwachsene Männer mit schwerer oder mittelschwerer Hämophilie B, die an lebensbedrohlichen Blutungen oder wiederkehrenden schweren Spontanblutungen leiden, die die Krankheit heilen. Die klinischen Studien haben gezeigt, dass mit Hemgenix Blutungsepisoden verringert und der Bedarf an Faktor-IX-Ersatztherapien reduziert werden kann. Die Behandlung von Hämophilie-B-Pa-

tienten mit Hemgenix zeigte eine signifikante Verringerung der Blutungsrate und -Komplikationen.

Aufgrund der vorliegenden Daten sowie unter Berücksichtigung aller Risiken (wie z.B. Leberenzym erhöhungen) und Vorsichtsmassnahmen überwiegen die Vorteile von Hemgenix die Risiken. Swissmedic hat daher das Arzneimittel Hemgenix, das den Wirkstoff Etranacogene dezaparvovec enthält, in der Schweiz zugelassen.

Weitere Informationen zum Arzneimittel

Information für medizinisches Fachpersonal:
[Fachinformation Hemgenix®](#)

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Information für Patientinnen und Patienten
(Packungsbeilage): [Patientinnen- und Patienteninformation Hemgenix®](#)

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Kurzbericht Arzneimittelzulassung ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirksamkeit oder die Sicherheit dieses Arzneimittels beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.