

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Sie können dabei helfen, indem Sie Nebenwirkungen melden. Hinweise zur Meldung von Nebenwirkungen, siehe Ende Kapitel «Welche Nebenwirkungen kann Hemgenix haben?».

Information für Patientinnen und Patienten

Lesen Sie diese Packungsbeilage sorgfältig, bevor Sie das Arzneimittel einnehmen bzw. anwenden. Dieses Arzneimittel ist Ihnen persönlich verschrieben worden und Sie dürfen es nicht an andere Personen weitergeben. Auch wenn diese die gleichen Krankheitssymptome haben wie Sie, könnte ihnen das Arzneimittel schaden.

Bewahren Sie die Packungsbeilage auf, Sie wollen sie vielleicht später nochmals lesen.

Hemgenix®

Was ist Hemgenix und wann wird es angewendet?

Hemgenix ist ein Gentherapieprodukt, das den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec enthält. Ein Gentherapieprodukt wirkt, indem ein Gen in den Körper eingeschleust wird, um einen genetischen Defekt zu korrigieren.

Menschen mit Hämophilie B werden mit einer veränderten Form eines Gens geboren, das für die Herstellung von Faktor IX notwendig ist, einem essenziellen Protein, das für die Blutgerinnung und die Stillung von Blutungen benötigt wird. Menschen mit Hämophilie B haben ungenügende Spiegel von Faktor IX und sind deshalb anfällig für innere oder äussere Blutungen.

Hemgenix wird angewendet zur Behandlung von schwerer bis mittelschwerer Hämophilie B bei männlichen erwachsenen Patienten mit einem vorbestehenden Titer an neutralisierenden Antikörpern gegen das AAV5-Viruskapsidprotein von bis zu 1:900, um die Blutungshäufigkeit und den Bedarf hinsichtlich der Ersatztherapie mit exogenem Faktor IX zur Erhöhung des Faktor-IX-Spiegels im Blut zu reduzieren.

Wie wirkt Hemgenix?

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 verbreiten, aber eine Kopie des Faktor-IX-Gens in die Leberzellen transportieren kann (bei dem Faktor-IX-Gen handelt es sich um die Padua-Genvariante des menschlichen Faktors IX, die natürlicherweise in menschlichem Blut von gesunden Personen vorkommt). Dies ermöglicht es der Leber, das Faktor-IX-Protein zu produzieren und die Konzentration an funktionsfähigem Faktor IX im Blut zu erhöhen. Das führt dazu, dass das Blut normaler gerinnt und Blutungsepisoden verhindert oder verringert werden.

Auf Verschreibung des Arztes oder der Ärztin.

Wann darf Hemgenix nicht angewendet werden?



Sie dürfen Hemgenix nicht anwenden, wenn Sie allergisch sind gegen Etranacogen Dezaparvovec oder einen der im Abschnitt «Was ist in Hemgenix enthalten?» aufgelisteten Hilfsstoffe.

Wenn der oben genannte Punkt auf Sie zutrifft oder wenn Sie sich dessen nicht sicher sind, sprechen Sie bitte mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin, bevor Sie Hemgenix erhalten.

Wann ist bei der Anwendung von Hemgenix Vorsicht geboten?

Vor der Behandlung mit Hemgenix

Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird mehrere Tests durchführen, **bevor** Sie Hemgenix erhalten.

Antikörper-Bluttests

Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird vor der Behandlung mit Hemgenix Blutuntersuchungen auf bestimmte Antikörper (Proteine) durchführen, darunter:

- Bluttests zur Bestimmung der Menge an Antikörpern in Ihrem Blut, die gegen den Virustyp gerichtet sind, der zur Herstellung von Hemgenix verwendet wird.
- Bluttests zum Nachweis von Antikörpern in Ihrem Blut, die gegen das menschliche Faktor-IX-Protein gerichtet sind (Faktor-IX-Hemmkörper). Wenn Sie positiv auf diese Antikörper getestet werden, wird etwa 2 Wochen später ein weiterer Test durchgeführt. Wenn die Ergebnisse beider Tests positiv sind, wird die Behandlung mit Hemgenix nicht durchgeführt.

Lebergesundheit

Bevor Sie mit der Behandlung mit Hemgenix beginnen, wird Ihr Arzt oder Ihre Ärztin den Zustand Ihrer Leber untersuchen, um zu entscheiden, ob dieses Arzneimittel für Sie geeignet ist. Dafür werden folgende Untersuchungen durchgeführt:

- Bluttests zur Überprüfung des Leberenzymspiegels in Ihrem Blut
- Bluttests zum Ausschluss bzw. Nachweis einer Leberentzündung (Hepatitis B und C)
- Ultraschall der Leber
- Elastographische Untersuchungen zur Überprüfung auf Vernarbung oder Verdickung Ihrer Leber

Während oder kurz nach der Hemgenix-Infusion

Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird Sie **während oder kurz nach** der Hemgenix-Infusion überwachen.

Infusionsbedingte Reaktionen

Infusionsbedingte Nebenwirkungen können während oder kurz nach der Verabreichung der Hemgenix-Infusion (über einen Tropf) auftreten. Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird Sie während der Hemgenix-Infusion und für mindestens 3 Stunden nach der Verabreichung von Hemgenix überwachen.

- Symptome solcher Nebenwirkungen sind in Abschnitt «Welche Nebenwirkungen kann Hemgenix haben?» aufgeführt. Informieren Sie **umgehend** Ihren Arzt, Ihre Ärztin oder das Pflegepersonal, wenn Sie diese oder andere Symptome während oder kurz nach der Infusion bemerken.
- Abhängig von Ihren Symptomen kann Ihre Infusion verlangsamt oder unterbrochen werden. Wenn die Infusion unterbrochen wird, kann sie mit einer langsameren Geschwindigkeit wieder aufgenommen werden, sobald die Infusionsreaktion abgeklungen ist. Ihr Arzt oder Ihre Ärztin kann auch abwägen, ob Sie Kortikosteroide (z. B. Prednisolon oder Prednison) zur Behandlung der



Infusionsreaktion erhalten sollten.

Nach der Behandlung mit Hemgenix

Nach der Behandlung mit Hemgenix wird Ihr Arzt oder Ihre Ärztin Ihren Gesundheitszustand weiter überwachen. Es ist **wichtig**, dass Sie **den Zeitplan für diese Blutuntersuchungen** mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin **besprechen**, damit sie wie erforderlich stattfinden können.

Leberenzyme

Hemgenix löst eine Reaktion in Ihrem Immunsystem aus, die zu einem erhöhten Spiegel bestimmter Leberenzyme in Ihrem Blut, den Transaminasen (Transaminitis), führen könnte. Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird Ihre Leberenzymwerte regelmässig überwachen, um sicherzustellen, dass das Arzneimittel wie gewünscht wirkt:

- Für mindestens die ersten 3 Monate nachdem Sie Hemgenix erhalten haben, werden einmal pro Woche Blutuntersuchungen durchgeführt, um Ihre Leberenzymwerte zu überwachen.
 - o Wenn bei Ihnen ein Anstieg der Leberenzyme auftritt, können häufigere Blutuntersuchungen erforderlich sein, um die Spiegel Ihrer Leberenzyme zu überwachen, bis sie sich wieder normalisieren. Möglicherweise müssen Sie auch ein anderes Arzneimittel (Kortikosteroide) einnehmen, um diese Nebenwirkungen zu behandeln.
 - o Ihr Arzt oder Ihre Ärztin kann bei Bedarf in Absprache mit einer auf dem Gebiet der Lebererkrankungen erfahrenen fachärztlichen Person (Hepatologe/Hepatologin) zusätzliche Tests durchführen, um andere Ursachen für den Anstieg der Leberenzyme auszuschliessen.
- Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird ab dem 4. Monat bis zu einem Jahr nach der Verabreichung von Hemgenix alle drei Monate weitere Leberenzymtests durchführen, um Ihre Lebergesundheit laufend zu überwachen. Im zweiten Jahr nach der Verabreichung von Hemgenix wird Ihr Arzt oder Ihre Ärztin Ihre Leberenzyme halbjährlich kontrollieren. Nach dem zweiten Jahr wird Ihr Arzt oder Ihre Ärztin Ihre Leberenzyme jährlich kontrollieren, und zwar bis zum Ablauf von mindestens 5 Jahren, nachdem Sie Hemgenix erhalten haben.

Faktor-IX-Spiegel

Ihr Arzt wird regelmässig Ihre Faktor-IX-Spiegel kontrollieren, um festzustellen, ob die Behandlung mit Hemgenix erfolgreich war.

- Mindestens in den ersten 3 Monaten nach der Verabreichung von Hemgenix werden einmal pro Woche Blutuntersuchungen durchgeführt, um Ihre Faktor-IX-Spiegel zu bestimmen.

Beendigung anderer Hämophilie-B-Therapien

Sprechen Sie nach der Anwendung von Hemgenix mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin darüber, ob oder wann Sie Ihre anderen Hämophilie-B-Therapien beenden sollten, und entwickeln Sie einen Behandlungsplan, der beschreibt, was im Falle einer Operation, eines Traumas, Blutungen oder vor Eingriffen, die möglicherweise das Blutungsrisiko erhöhen könnten, zu tun ist. Es ist sehr wichtig, dass Sie Ihre Kontrolltermine und Arztbesuche fortsetzen, um festzustellen, ob Sie andere Therapien zur Behandlung von Hämophilie B benötigen.



Abnorme Blutgerinnung (thromboembolische Ereignisse)

Nach der Behandlung mit Hemgenix kann Ihr Faktor-IX-Proteinspiegel ansteigen. Bei einigen Patienten könnte dieser für einen bestimmten Zeitraum auf Werte über dem Normalbereich ansteigen.

- Überhöhte Faktor-IX-Spiegel können dazu führen, dass Ihr Blut stärker gerinnt, was das Risiko für Blutgerinnsel erhöht, z. B. in der Lunge (Lungenthromboembolie) oder in einem Blutgefäss im Bein (venöse oder arterielle Thrombose).
- Das Risiko einer übermässigen Blutgerinnung kann bei Ihnen erhöht sein, wenn Sie bereits bestehende Probleme mit Ihrem Herzen und Ihren Blutgefässen haben (z. B. Vorgeschichte einer Herzerkrankung (kardiovaskuläre Erkrankung), dicke und steife Arterien (Arteriosklerose), Bluthochdruck (Hypertonie) oder wenn Sie Diabetiker oder über 50 Jahre sind.
- Ihr Arzt wird Ihr Blut regelmässig auf mögliche Veränderungen der Faktor-IX-Spiegel überwachen, insbesondere wenn Sie nach der Verabreichung von Hemgenix weiterhin Ihre standardmässige Faktor-IX-Prophylaxe (Faktor-IX-Ersatztherapie) erhalten (siehe auch Abschnitt "Wie verwenden Sie Hemgenix?").
- Wenden Sie sich sofort an Ihren Arzt, wenn Sie Anzeichen einer gestörten Blutgerinnung bemerken, wie plötzliche Brustschmerzen, Kurzatmigkeit, plötzliches Einsetzen von Muskelschwäche, Gefühlsverlust und/oder Gleichgewichtsstörungen, verminderte Aufmerksamkeit, Schwierigkeiten beim Sprechen oder Schwellung eines oder beider Beine.

Risiko einer bösartigen Lebererkrankung (hepatozelluläre Karzinogenität)

- Hemgenix gelangt in die Leberzellen und könnte möglicherweise in die DNA der Leberzellen oder in die DNA anderer Körperzellen eingebaut werden. Infolgedessen könnte Hemgenix zu einem Krebsrisiko beitragen, z. B. zu Leberkrebs (hepatozelluläres Karzinom). Obwohl es in den klinischen Studien bisher keine Belege dafür gibt, kann dies aufgrund der Art des Arzneimittels nicht ausgeschlossen werden. Sie sollten dies daher mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin besprechen.
- Wenn Sie ein Patient mit vorbestehenden Risikofaktoren für ein hepatozelluläres Karzinom sind (z. B., wenn Sie an Leberzirrhose, Leberfibrose [Vernarbung und Verdickung der Leber], Hepatitis B, Hepatitis C oder Fettleber [nichtalkoholische Fettlebererkrankung, NAFLD] leiden) wird Ihr Arzt oder Ihre Ärztin für mindestens 5 Jahre nach der Verabreichung von Hemgenix regelmässig (z. B. jährlich) Ihre langfristige Lebergesundheit überwachen und die folgenden Tests durchführen:
 - o jährliche Ultraschalluntersuchung der Leber und
 - o jährliche Blutuntersuchung auf einen Anstieg des sogenannten Alpha-Fetoproteins.

Vermeidung von Blutspenden und Spenden für Transplantationen

Um sicherzustellen, dass Personen ohne Häophilie B nicht durch Ausscheidungsprozesse mit Hemgenix in Kontakt kommen, können Sie nach der Behandlung mit Hemgenix kein Blut und keine Organe sowie keine Gewebe und Zellen für eine Transplantation spenden.

Ausscheidung

Der Wirkstoff in Hemgenix kann vorübergehend über Ihr Blut, Sperma oder andere Körperausscheidungen ausgeschieden werden. Sie müssen für mindestens 6 Monate nach der Behandlung mit Etranacogen Dezaparvovec eine Barrieremethode zur Empfängnisverhütung anwenden.



Das Risiko schädlicher Auswirkungen auf die menschliche Gesundheit bei versehentlichem Kontakt und die Risiken für die Umwelt werden jedoch als vernachlässigbar eingeschätzt.

Hemgenix enthält Natrium und Kalium

Das Arzneimittel enthält 35,2 mg Natrium (Hauptbestandteil von Kochsalz/Speisesalz) pro Durchstechflasche. Dies entspricht 1,8 % der für einen Erwachsenen empfohlenen maximalen täglichen Natriumaufnahme mit der Nahrung.

Dieses Arzneimittel enthält Kalium, jedoch weniger als 1 mmol (39 mg) Kalium pro Durchstechflasche, d. h. es ist nahezu kaliumfrei.

Fahrtüchtigkeit und das Bedienen von Maschinen

Hemgenix hat keinen oder einen vernachlässigbaren Einfluss auf die Fahrtüchtigkeit und das Bedienen von Maschinen. Einige der in Abschnitt «Welche Nebenwirkungen kann Hemgenix haben?» genannten Wirkungen können jedoch Ihre Fahrtüchtigkeit oder Ihre Fähigkeit, Maschinen zu bedienen, vorübergehend beeinträchtigen.

Informieren Sie Ihren Arzt oder Apotheker bzw. Ihre Ärztin oder Apothekerin, wenn Sie:

- an anderen Krankheiten leiden,
- Allergien haben oder
- andere Arzneimittel (auch selbst gekaufte!) einnehmen.

Darf Hemgenix während einer Schwangerschaft oder in der Stillzeit angewendet werden?

Es liegen keine Daten zur Anwendung von Hemgenix bei Frauen mit Hämophilie B vor.

Wie verwenden Sie Hemgenix?

Hemgenix wird Ihnen in einem klinischen Behandlungszentrum unter der Leitung eines Arztes oder einer Ärztin verabreicht, der oder die in der Behandlung Ihrer Erkrankung, der Hämophilie B, erfahren und geschult ist.

Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird anhand Ihres Körpergewichts die richtige Dosis für Sie ermitteln.

Die Dosis beträgt 2×10^{13} Genomkopien, die Einheit, in der Hemgenix gemessen wird, pro kg Ihres Körpergewichts.

Hemgenix wird Ihnen nach Verdünnung mit einer 0,9%igen Natriumchloridlösung (isotonische Kochsalzlösung) **einmalig** durch eine einzelne langsame Infusion (über einen Tropf) in eine Vene verabreicht.

Beendigung der exogenen Faktor-IX-Behandlung

- Es kann mehrere Wochen dauern, bis sich nach der Hemgenix-Infusion eine verbesserte Blutungskontrolle zeigt, und Sie müssen Ihre Ersatztherapie mit exogenem Faktor IX



möglicherweise in den ersten Wochen nach der Hemgenix-Infusion fortsetzen.

- Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird regelmässig das Faktor-IX-Aktivitätsniveau in Ihrem Blut überwachen, d. h. wöchentlich für mindestens die ersten 3 Monate und danach in regelmässigen Abständen, und entscheiden, ob und wann Sie Ihre exogene Faktor-IX-Therapie erhalten, reduzieren oder absetzen sollten (siehe Abschnitt «Wann ist bei der Anwendung von Hemgenix Vorsicht geboten?»).

Wenn Sie Fragen zur Anwendung von Hemgenix haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Ihre Ärztin.

Ändern Sie nicht von sich aus die verschriebene Dosierung. Wenn Sie glauben, das Arzneimittel wirke zu schwach oder zu stark, so sprechen Sie mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin.

Kinder und Jugendliche

Die Anwendung und Sicherheit von Hemgenix bei Kindern und Jugendlichen unter 18 Jahren ist bisher nicht geprüft worden.

Welche Nebenwirkungen kann Hemgenix haben?

Wie alle Arzneimittel kann auch dieses Arzneimittel Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen.

Informieren Sie sofort Ihren Arzt oder Ihre Ärztin und bitten Sie um eine medizinische Notfallbehandlung, wenn bei Ihnen eine infusionsbedingte Reaktion auftritt (siehe unten).

Informieren Sie Ihren Arzt oder Ihre Ärztin, wenn Sie andere Nebenwirkungen bemerken. Die folgenden Nebenwirkungen wurden in klinischen Studien mit Hemgenix beobachtet.

Sehr häufig (betrifft mehr als einen von 10 Behandelten)

- Kopfschmerzen
- Grippeähnliche Erkrankung
- Erhöhte Leberenzymwerte im Blut (Alanin-Aminotransferase erhöht)
- Reaktion im Zusammenhang mit der Infusion (Überempfindlichkeit, Reaktion an der Infusionsstelle, Schwindelgefühl, Augenjucken, Flush (Hitzegefühl), Oberbauchschmerzen, Urtikaria (Quaddeln), Brustkorbbeschwerden und Pyrexie (Fieber))

Häufig (betrifft bis zu einen von 10 Behandelten)

- Schwindelgefühl
- Krankheitsgefühl (Übelkeit)
- Unwohlsein (Malaise)
- Ermüdung (Fatigue)
- Erhöhte Leberenzymwerte im Blut (Aspartat-Aminotransferase erhöht)
- Erhöhte Blutwerte von Kreatinphosphokinase, einem Enzym (Protein), das vor allem im Herzen, im Gehirn und in den Skelettmuskeln vorkommt
- Erhöhte Blutwerte von Bilirubin, einem gelben Abbauprodukt der roten Blutkörperchen



Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker bzw. Ihre Ärztin oder Apothekerin. Dies gilt insbesondere auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Sie können Nebenwirkungen auch direkt über das nationale Meldesystem melden. Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden.

Was ist ferner zu beachten?

Die folgenden Informationen sind nur für medizinisches Fachpersonal bestimmt.

Da dieses Arzneimittel in einem klinischen Behandlungszentrum angewendet wird, ist das Klinikpersonal für die korrekte Lagerung des Arzneimittels vor und während seiner Anwendung verantwortlich, genauso wie für die korrekte Entsorgung.

Bewahren Sie dieses Arzneimittel ausser Reichweite von Kindern auf.

Haltbarkeit

Das Arzneimittel darf nur bis zu dem auf dem Behälter mit «EXP» bezeichneten Datum verwendet werden.

Lagerungshinweise

Im Kühlschrank (2–8 °C) lagern. Nicht einfrieren.

Die Durchstechflaschen in der Originalverpackung aufbewahren, um den Inhalt vor Licht zu schützen.

Aufbrauchsfrist nach Anbruch

Nach Verdünnung mit 0,9%iger (9 mg/ml) Natriumchlorid-Injektionslösung kann Hemgenix lichtgeschützt bei 15–25 °C im Infusionsbeutel bis zu 24 Stunden lang nach der Dosiszubereitung aufbewahrt werden.

Entsorgung

Entsorgen Sie keine Arzneimittel in das Abwasser oder den Hausmüll. Abgelaufene oder nicht mehr benötigte Arzneimittel aus Haushalten können in Apotheken oder Sammelstellen abgegeben werden. Diese Massnahmen tragen zum Schutz der Umwelt bei.

Was ist in Hemgenix enthalten?

Hemgenix ist ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung (steriles Konzentrat).

Hemgenix ist eine klare, farblose Lösung.

Nach der Verdünnung liegt Etranacogen Dezaparvovec als klare, farblose Lösung vor.

Wenden Sie das Arzneimittel nicht an, wenn Sie Partikel, Trübungen oder Verfärbungen bemerken.

Wirkstoffe

Der Wirkstoff ist Etranacogen Dezaparvovec. Jede Durchstechflasche Hemgenix enthält

1×10^{13} Genomkopien (gc)/ml Etranacogen Dezaparvovec.



Enthält genetisch veränderten Vektor auf der Basis des Adeno-assoziierten Virus Serotyp 5 (AAV5).

Hilfsstoffe

Die sonstigen Bestandteile (Hilfsstoffe) sind: Saccharose, Polysorbat-20, Kaliumchlorid, Kaliumdihydrogenphosphat, Natriumchlorid, Dinatriumhydrogenphosphat, Salzsäure (zur pH-Wert-Einstellung), Wasser für Injektionszwecke (siehe auch Abschnitt «Wann darf Hemgenix nicht angewendet werden?»).

Zulassungsnummer

68780 (Swissmedic)

Wo erhalten Sie Hemgenix? Welche Packungen sind erhältlich?

In Spitalapotheken gegen ärztliche Verschreibung, die nur zum einmaligen Bezug berechtigt.

Hemgenix wird in Durchstechflaschen zu 10 ml Etranacogen Dezaparvovec geliefert.

Die Gesamtzahl der Durchstechflaschen in einer Packung entspricht der erforderlichen Dosis für den jeweiligen Patienten, abhängig von seinem Körpergewicht, und ist auf der Verpackung angegeben.

Zulassungsinhaberin

CSL Behring AG, Bern

Diese Packungsbeilage wurde im Juli 2026 letztmals durch die Arzneimittelbehörde (Swissmedic) geprüft.

