

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité. Vous pouvez y contribuer en signalant tout effet secondaire. Voir à la fin de la rubrique «Quels effets secondaires Hemgenix peut-il provoquer?» pour savoir comment déclarer les effets secondaires.

Information destinée aux patients

Lisez attentivement cette notice d'emballage avant de prendre ou d'utiliser ce médicament. Ce médicament vous a été remis personnellement sur ordonnance médicale. Ne le remettez donc pas à d'autres personnes, même si elles semblent présenter les mêmes symptômes que vous. En effet, ce médicament pourrait nuire à leur santé.

Conservez cette notice d'emballage pour pouvoir la relire plus tard si nécessaire.

Hemgenix®

Qu'est-ce que Hemgenix et quand doit-il être utilisé?

Hemgenix est un médicament de thérapie génique qui contient la substance active etranacogene dezaparvovec.

Un médicament de thérapie génique agit en introduisant un gène dans l'organisme pour corriger une anomalie génétique.

Les personnes atteintes d'hémophilie B sont nées avec une forme altérée d'un gène nécessaire pour fabriquer le facteur IX, une protéine essentielle pour que le sang forme des caillots et arrête ainsi les saignements. Les personnes atteintes d'hémophilie B ont des taux insuffisants de facteur IX et sont sujettes à des épisodes de saignements internes ou externes.

Hemgenix est utilisé pour le traitement de l'hémophilie B sévère et modérément sévère chez les adultes avec un titre d'anticorps neutralisants dirigés contre la protéine de la capsid virale de l'AAV5 inférieur ou égal à 1:900 pour réduire la fréquence des saignements et le besoin d'une substitution par le facteur IX exogène destinée à augmenter la concentration en facteur IX dans le sang.

Comment agit Hemgenix?

La substance active de Hemgenix est basée sur un virus qui ne provoque pas de maladie chez les humains. Ce virus a été modifié afin de ne pas pouvoir se propager dans l'organisme, mais de pouvoir délivrer une copie du gène du facteur IX dans les cellules du foie (gène variant du facteur IX de coagulation humain présent naturellement dans le sang des personnes saines, appelé variant Padua). Cela permet au foie de produire la protéine facteur IX et d'augmenter les taux de facteur IX fonctionnel dans le sang. Cela aide le sang à coaguler plus normalement et évite ou réduit les épisodes de saignements.

Sur prescription du médecin.

Quand Hemgenix ne doit-il pas être pris/utilisé?

Vous ne devez pas utiliser Hemgenix si vous êtes allergique à l'etranacogene dezaparvovec ou à l'un des autres composants mentionnés dans la rubrique «Que contient Hemgenix?».

Si ce cas vous concerne, ou en cas de doute, adressez-vous à votre médecin avant de recevoir Hemgenix.

Quelles sont les précautions à observer lors de la prise/de l'utilisation de Hemgenix?

Avant le traitement par Hemgenix

Votre médecin réalisera plusieurs tests **avant** l'administration du traitement par Hemgenix.



Recherche d'anticorps dans le sang

Votre médecin réalisera des analyses de sang afin de rechercher la présence de certains anticorps (protéines) avant le traitement par Hemgenix, notamment:

- Des analyses de sang pour rechercher la présence dans votre sang d'anticorps dirigés contre le type de virus utilisé pour fabriquer Hemgenix.
- Des analyses de sang pour déterminer la quantité dans votre sang d'anticorps dirigés contre la protéine facteur IX humain (inhibiteurs de facteur IX). Si le test de recherche de ces anticorps est positif, un autre test sera réalisé environ 2 semaines plus tard. Si les résultats de ces deux tests sont positifs, Hemgenix ne doit pas être administré.

État de santé du foie

Pour décider si ce médicament est adapté à votre cas, votre médecin vérifiera l'état de votre foie avant de commencer le traitement par Hemgenix et réalisera:

- des analyses de sang pour déterminer le taux d'enzymes hépatiques dans votre sang
- des analyses de sang pour exclure ou détecter une inflammation du foie (hépatite B ou C)
- une échographie de votre foie
- une élastographie afin d'évaluer la formation de tissu cicatriciel ou d'un épaissement du tissu de votre foie.

Pendant ou peu après la perfusion de Hemgenix

Votre médecin vous surveillera **pendant ou juste après** la perfusion de Hemgenix.

Réactions liées à la perfusion

Des effets indésirables liés à la perfusion peuvent survenir pendant ou juste après la perfusion (goutte-à-goutte) de Hemgenix. Votre médecin vous surveillera pendant la perfusion de Hemgenix et pendant au moins 3 heures après.

- Les symptômes de ces effets indésirables sont indiqués à la rubrique «Quels effets secondaires Hemgenix peut-il provoquer?». Prévenez **immédiatement** votre médecin ou le personnel médical si vous présentez l'un de ces symptômes ou d'autres symptômes pendant ou juste après la perfusion.
- En fonction de vos symptômes, votre perfusion pourra être ralentie ou interrompue. Si la perfusion est interrompue, celle-ci pourra être redémarrée à un débit plus faible une fois la réaction à la perfusion résolue. Votre médecin pourra également envisager de vous donner des corticostéroïdes (par ex. prednisolone ou prednisone) pour traiter la réaction à la perfusion.

Après le traitement par Hemgenix

Après le traitement par Hemgenix, votre médecin continuera à contrôler votre état de santé.

Il est **important** que vous **discutiez** avec votre médecin **du moment auquel ces analyses de sang** doivent être pratiquées afin qu'elles puissent être effectuées conformément aux besoins.

Enzymes hépatiques

Hemgenix va déclencher une réponse de votre système immunitaire qui pourrait conduire à une augmentation du taux de certaines enzymes hépatiques dans votre sang, appelées transaminases (transaminite). Votre médecin surveillera régulièrement vos taux d'enzymes hépatiques pour s'assurer que le médicament fonctionne comme il se doit:

- Au cours des 3 premiers mois, au moins, après avoir reçu Hemgenix, des analyses de sang seront effectuées une fois par semaine pour surveiller vos taux d'enzymes hépatiques.
 - En cas d'augmentation des enzymes hépatiques, vous serez amené à faire des analyses de sang plus fréquemment pour contrôler les taux de vos enzymes hépatiques, jusqu'à ce qu'ils



reviennent à la normale. Vous devrez peut-être également prendre un autre médicament (corticostéroïde) pour gérer ces effets indésirables.

- Votre médecin pourra également réaliser des tests supplémentaires afin d'exclure d'autres causes de l'augmentation de vos enzymes hépatiques, si nécessaire, en concertation avec un médecin expérimenté dans les maladies du foie (hépatologue).
- Votre médecin répètera les tests de dosage de vos enzymes hépatiques tous les trois mois à partir du 4^e mois jusqu'à un an après l'administration de Hemgenix afin de continuer à surveiller l'état de votre foie. Au cours de la deuxième année suivant l'administration de Hemgenix, votre médecin contrôlera vos enzymes hépatiques tous les six mois. Après la deuxième année, votre médecin contrôlera vos enzymes hépatiques une fois par an pendant au moins 5 ans après l'administration de Hemgenix.

Taux de facteur IX

Votre médecin contrôlera régulièrement votre taux de facteur IX pour voir si votre traitement par Hemgenix a fonctionné.

- Pendant au moins les 3 premiers mois suivant l'administration de Hemgenix, des analyses de sang seront réalisées une fois par semaine pour surveiller votre taux de facteur IX.

Arrêt d'autres traitements contre l'hémophilie B

Après l'administration de Hemgenix, demandez à votre médecin si ou quand vous devez arrêter vos autres traitements contre l'hémophilie B et établissez un plan de traitement indiquant ce que vous devez faire en cas d'intervention chirurgicale, de traumatisme, de saignements ou de toute autre procédure susceptible d'augmenter le risque de saignement. Il est très important de continuer votre surveillance et vos visites chez votre médecin afin de déterminer si vous devez prendre d'autres traitements pour la prise en charge de votre hémophilie B.

Coagulation du sang anormale (événements thromboemboliques)

Après le traitement par Hemgenix, votre taux de protéine facteur IX peut augmenter. Chez certains patients, ces valeurs peuvent atteindre des niveaux supérieurs aux limites normales pendant un certain temps.

- Des taux surélevés de facteur IX peuvent conduire à une coagulation plus forte de votre sang, ce qui augmente le risque de formation d'un caillot sanguin, par exemple dans les poumons (thromboembolie pulmonaire) ou dans un vaisseau sanguin dans une jambe (thrombose veineuse ou artérielle).
- Le risque de coagulation sanguine excessive peut être augmenté chez vous si vous avez déjà des problèmes existants au niveau du cœur ou des vaisseaux sanguins (par ex. antécédents de maladie cardiaque (maladie cardiovasculaire), artères épaissies et rigides (artériosclérose), augmentation de la pression sanguine (hypertension), si vous êtes diabétique ou si vous avez plus de 50 ans.
- Votre médecin surveillera régulièrement votre sang à la recherche de modifications éventuelles du taux de facteur IX, surtout si vous poursuivez votre prophylaxie standard par le facteur IX (traitement substitutif par facteur IX) après l'administration d'Hemgenix (voir aussi la rubrique «Comment utiliser Hemgenix?»).
- Consultez immédiatement votre médecin si vous remarquez des signes d'une perturbation de la coagulation comme des douleurs soudaines dans la poitrine, un essoufflement, une faiblesse musculaire subite, une perte de sensations et/ou des troubles de l'équilibre, une diminution de l'attention, des difficultés d'élocution ou un gonflement d'une ou des deux jambes.

Risque de malignité hépatique (carcinogénicité hépatocellulaire)

- Hemgenix va pénétrer dans les cellules de votre foie et pourrait éventuellement s'insérer dans l'ADN des cellules de votre foie ou l'ADN d'autres cellules de l'organisme. Par conséquent,



Hemgenix pourrait être associé à un risque de cancer, notamment de cancer du foie (carcinome hépatocellulaire). Bien qu'aucune étude clinique n'ait prouvé ce lien jusqu'à présent, ce risque ne peut être exclu étant donné la nature du médicament. Vous devriez donc en discuter avec votre médecin.

- Si vous présentez des facteurs de risque préexistants de carcinome hépatocellulaire (par ex. si vous avez une cirrhose du foie, une fibrose hépatique [formation de tissu cicatriciel et épaissement du foie], une hépatite B, une hépatite C ou une stéatose hépatique non alcoolique [NAFLD]), votre médecin contrôlera régulièrement (par ex. une fois par an) l'état de votre foie pendant au moins 5 ans après l'administration de Hemgenix et réalisera les tests suivants:
 - une échographie hépatique annuelle et
 - une analyse de sang annuelle pour vérifier l'augmentation éventuelle du taux d'alpha-fœtoprotéine.

Éviter les dons de sang et dons à des fins de greffe

Pour s'assurer que des personnes non hémophiles B ne soient pas exposées à l'ADN de Hemgenix par le biais du processus d'excrétion, vous ne pourrez pas donner de sang, d'organes, de tissus ni de cellules à des fins de greffe après avoir été traité par Hemgenix.

Excrétion

La substance active de Hemgenix peut être temporairement excrétée dans votre sang, votre sperme et d'autres substances corporelles. Vous devez utiliser une méthode de contraception barrière pendant au moins 6 mois après le traitement par etranacogene dezaparvovec.

Le risque d'effet indésirable sur la santé humaine en cas d'exposition accidentelle à Hemgenix et les risques pour l'environnement sont néanmoins considérés comme négligeables.

Hemgenix contient du sodium et du potassium

Ce médicament contient 35,2 mg de sodium (composant principal du sel de cuisine) par flacon, ce qui équivaut à 1,8% de l'apport alimentaire quotidien maximal recommandé par l'OMS de sodium pour un adulte.

Ce médicament contient moins de 1 mmol (39 mg) de potassium par flacon, c'est-à-dire qu'il est essentiellement «sans potassium».

Aptitude à conduire et capacité à utiliser des machines

Hemgenix n'exerce aucune ou seulement une influence négligeable sur l'aptitude à conduire des véhicules et à utiliser des machines. Certains effets indésirables mentionnés dans la rubrique «Quels effets secondaires Hemgenix peut-il provoquer?» peuvent cependant altérer transitoirement votre aptitude à conduire des véhicules et à utiliser des machines.

Veuillez informer votre médecin ou votre pharmacien si

- vous souffrez d'une autre maladie
- vous êtes allergique
- vous prenez déjà d'autres médicaments (même en automédication!).

Hemgenix peut-il être pris/utilisé pendant la grossesse ou l'allaitement?

Il n'existe pas de données sur l'utilisation de Hemgenix chez la femme atteinte d'hémophilie B.

Comment utiliser Hemgenix?

Hemgenix vous sera administré dans un établissement hospitalier sous la direction d'un médecin expérimenté et formé dans le traitement de votre maladie, l'hémophilie B.

Votre médecin déterminera la dose correcte pour vous en fonction de votre poids corporel.



La dose est de 2×10^{13} copies de génome (unité de mesure pour Hemgenix) par kg de poids corporel.

Hemgenix vous sera administré **une seule fois** dans une veine par perfusion unique lente (goutte-à-goutte) après dilution dans une solution de chlorure de sodium à 0,9% (solution saline isotonique).

Arrêt du traitement par facteur IX exogène

- Plusieurs semaines pourront être nécessaires avant que vous observiez une amélioration du contrôle des saignements après la perfusion de Hemgenix et vous devrez peut-être continuer votre traitement substitutif par facteur IX exogène pendant les premières semaines suivant la perfusion de Hemgenix.
- Votre médecin fera régulièrement des analyses de sang afin de déterminer le niveau d'activité du facteur IX, c'est-à-dire une fois par semaine pendant au moins les 3 premiers mois, puis à intervalles réguliers, et il décidera si et quand vous devez recevoir, réduire ou arrêter votre traitement par facteur IX exogène (voir rubrique «Quelles sont les précautions à observer lors de l'utilisation de Hemgenix?»).

Si vous avez des questions sur l'utilisation de Hemgenix, demandez plus d'informations à votre médecin.

Ne changez pas de votre propre chef le dosage prescrit. Adressez-vous à votre médecin si vous estimez que l'efficacité du médicament est trop faible ou au contraire trop forte.

Enfants et adolescents

La sécurité et l'efficacité de Hemgenix chez les enfants et les adolescents de moins de 18 ans n'ont pas été étudiées à ce jour.

Quels effets secondaires Hemgenix peut-il provoquer?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut aussi causer des effets secondaires. Néanmoins, ces derniers ne surviennent pas systématiquement chez tous les patients.

Si une réaction à la perfusion survient (voir ci-dessous), informez-en immédiatement votre médecin et demandez-lui un traitement médical d'urgence.

Si vous remarquez des effets secondaires, veuillez en informer votre médecin. Les effets secondaires suivants ont été observés au cours des études cliniques sur Hemgenix.

Très fréquent (concerne plus d'une personne sur 10)

- Maux de tête
- Syndrome grippal
- Augmentation du taux d'enzymes hépatiques dans le sang (augmentation de l'alanine aminotransférase)
- Réaction en relation avec la perfusion (hypersensibilité, réaction au site de perfusion, sensation d'étourdissements, démangeaisons oculaires, flush [bouffées de chaleur], douleurs dans le haut du ventre, urticaire [papules], gêne thoracique et fièvre)

Fréquent (concerne 1 à 10 personnes sur 100)

- Sensation d'étourdissements
- Sentiment de mal-être général (nausée)
- Sentiment de malaise général
- Fatigue
- Augmentation du taux d'enzymes hépatiques dans le sang (aspartate aminotransférase)
- Augmentation du taux sanguin de créatine phosphokinase, une enzyme (protéine) présente principalement dans le cœur, le cerveau et les muscles squelettiques



- Augmentation de la concentration sanguine en bilirubine, une substance jaune résultant de la dégradation des globules rouges

Si vous remarquez des effets secondaires, veuillez en informer votre médecin ou votre pharmacien. Ceci vaut en particulier pour les effets secondaires non mentionnés dans cette notice d'emballage.

Vous pouvez aussi rapporter les effets secondaires directement via le système d'annonce national. En annonçant les effets secondaires, vous pouvez contribuer à augmenter la quantité d'informations disponibles sur la sécurité de ce médicament.

À quoi faut-il encore faire attention?

Les informations suivantes sont destinées exclusivement au personnel médical.

Ce médicament étant utilisé dans un centre de traitement clinique, le personnel médical est responsable de sa conservation correcte avant et pendant son utilisation ainsi que de son élimination correcte.

Conserver ce médicament hors de portée des enfants.

Stabilité

Le médicament ne doit pas être utilisé au-delà de la date figurant après la mention «EXP» sur l'emballage.

Remarques concernant le stockage

Conserver au réfrigérateur (2-8°C). Ne pas congeler.

Conserver les flacons dans leur carton d'origine pour protéger leur contenu de la lumière.

Délai d'utilisation après ouverture

Une fois dilué avec une solution injectable de chlorure de sodium à 0,9% (9 mg/mL), Hemgenix peut être conservé à une température comprise entre 15 °C et 25 °C dans la poche de perfusion, à l'abri de la lumière, jusqu'à 24 h après la préparation de la dose.

Élimination

Ne jetez aucun médicament avec les eaux usées ou les ordures ménagères. Les médicaments périmés ou qui ne sont plus utilisés dans les ménages peuvent être rapportés dans les pharmacies ou dans les centres de collecte. Ces mesures contribueront à protéger l'environnement.

Que contient Hemgenix?

Hemgenix est un concentré pour préparation d'une solution injectable (concentré stérile).

Hemgenix est une solution limpide et incolore.

Après la dilution, l'etranacogene dezaparvovec est une solution limpide et incolore.

Ne pas utiliser ce médicament s'il contient des particules, s'il est trouble ou présente des colorations anormales.

Principes actifs

Le principe actif est l'etranacogene dezaparvovec. Chaque flacon de Hemgenix contient 1×10^{13} copies de génome (gc)/ml d'etranacogene dezaparvovec.

Contient un vecteur génétiquement modifié, basé sur un virus adéno-associé de sérotype 5 (AAV5).

Excipients



Les autres composants (excipients) sont: saccharose, polysorbate 20, chlorure de potassium, dihydrogénophosphate de potassium, chlorure de sodium, hydrogénophosphate de sodium, acide chlorhydrique (pour ajustement du pH), eau pour préparations injectables (voir également «Quand Hemgenix ne doit-il pas être utilisé?»).

Numéro d'autorisation

68780 (Swissmedic)

Où obtenez-vous Hemgenix? Quels sont les emballages à disposition sur le marché?

En pharmacie hospitalière, seulement sur ordonnance médicale non renouvelable.

Hemgenix est conditionné dans des flacons contenant 10 mL d'etranacogene dezaparvovec.

Le nombre total de flacons dans chaque boîte, qui correspond à la dose nécessaire pour le patient en fonction de son poids, est indiqué sur l'emballage.

Titulaire de l'autorisation

CSL Behring AG, Berne

Cette notice d'emballage a été vérifiée pour la dernière fois en juillet 2026 par l'autorité de contrôle des médicaments (Swissmedic).

