

▼ Questo medicamento è soggetto a monitoraggio addizionale. Ciò consente una rapida identificazione delle nuove conoscenze in materia di sicurezza. Può contribuire segnalando gli effetti collaterali. Per le indicazioni sulla notifica degli effetti collaterali, cfr. la fine del capitolo «Quali effetti collaterali può avere Hemgenix?»

Informazione destinata ai pazienti

Legga attentamente il foglietto illustrativo prima di assumere o far uso del medicamento.

Questo medicamento le è stato prescritto personalmente e quindi non deve essere consegnato ad altre persone, anche se i sintomi sono gli stessi. Il medicamento potrebbe nuocere alla loro salute.

Conservi il foglietto illustrativo per poterlo rileggere all'occorrenza.

Hemgenix®

Che cos'è Hemgenix e quando si usa?

Hemgenix è un prodotto di terapia genica che contiene il principio attivo etranacogene dezaparvovec. Un prodotto di terapia genica agisce introducendo un gene nell'organismo per correggere un difetto genetico.

Le persone affette da emofilia B nascono con una mutazione di un gene necessario alla produzione di fattore IX, una proteina essenziale per la coagulazione del sangue e per fermare le emorragie. Le persone con emofilia B hanno un livello insufficiente di fattore IX e per questo sono soggette a emorragie interne o esterne.

Hemgenix è utilizzato per il trattamento dell'emofilia B da grave a moderata in pazienti adulti di sesso maschile con un titolo preesistente di anticorpi neutralizzanti contro la proteina del capsido virale AAV5 fino a 1:900, al fine di ridurre la frequenza dei sanguinamenti e la necessità di una terapia sostitutiva con fattore IX esogeno per aumentare il livello di fattore IX nel sangue.

Come agisce Hemgenix?

Il principio attivo di Hemgenix si basa su un virus che nell'uomo non causa nessuna malattia. Questo virus viene modificato in modo che non si diffonda nell'organismo, ma possa trasportare una copia del gene del fattore IX nelle cellule del fegato (il gene del fattore IX è la variante Padova del gene del fattore IX umano, presente naturalmente nel sangue di individui sani). Ciò consente al fegato di produrre la proteina del fattore IX e di aumentare la concentrazione di fattore IX funzionale nel sangue. Questo fa sì che il sangue si coaguli normalmente e che gli episodi di sanguinamento cessino o siano ridotti.

Su prescrizione medica.

Quando non si può usare Hemgenix?

Non può usare Hemgenix se è allergico all'etranacogene dezaparvovec o a una qualsiasi delle sostanze ausiliarie elencate nella rubrica «Cosa contiene Hemgenix?».

Se è allergico al principio attivo o a una qualsiasi delle sostanze ausiliarie o se non è sicuro di esserlo, consulti il suo medico prima di ricevere il trattamento con Hemgenix.

Quando è richiesta prudenza nell'uso di Hemgenix?

Prima del trattamento con Hemgenix



Il suo medico effettuerà diversi test **prima** di somministrarle Hemgenix.

Test degli anticorpi

Prima del trattamento con Hemgenix il suo medico la sottoporrà a esami del sangue per rilevare determinati anticorpi (proteine), fra cui:

- Esami del sangue per determinare la quantità degli anticorpi contro il tipo di virus che si usa per la produzione di Hemgenix.
- Esami del sangue per rilevare gli anticorpi contro la proteina del fattore IX umano (inibitori del fattore IX). Se nei test lei risulta positivo a questi anticorpi, circa 2 settimane dopo verrà effettuato un ulteriore esame. Se i risultati di entrambi gli esami sono positivi, il trattamento con Hemgenix non verrà effettuato.

Salute epatica

Prima di iniziare il trattamento con Hemgenix, il suo medico verificherà le condizioni del suo fegato per decidere se il medicamento è adatto a lei. A tale scopo verranno eseguite le indagini seguenti:

- esami del sangue per determinare il livello degli enzimi epatici
- esami del sangue per escludere o rilevare la presenza di un'inflammatione epatica (epatite B e C)
- ecografia del fegato
- elastografia per verificare la presenza di tessuto cicatriziale o ispessimenti nel fegato

Durante o poco dopo l'infusione di Hemgenix

Durante o poco dopo l'infusione di Hemgenix il suo medico la terrà sotto monitoraggio.

Reazioni correlate all'infusione

Gli effetti collaterali dovuti all'infusione possono verificarsi durante o poco dopo la somministrazione dell'infusione di Hemgenix (tramite flebo). Il suo medico la terrà sotto controllo durante l'infusione di Hemgenix e per almeno 3 ore dopo la somministrazione di Hemgenix.

- I sintomi di questi effetti collaterali vengono elencati nella rubrica «Quali effetti collaterali può avere Hemgenix?». Informi **immediatamente** il suo medico o il personale infermieristico, se durante o poco dopo l'infusione nota questi o altri sintomi.
- A seconda dei sintomi l'infusione può essere rallentata o interrotta. Se si interrompe l'infusione, è possibile riprenderla a velocità ridotta non appena la reazione all'infusione si sia attenuata. Il suo medico può anche prendere in considerazione la possibilità di somministrarle dei corticosteroidi (p. es. prednisolone o prednisone) per il trattamento della reazione all'infusione.

Dopo il trattamento con Hemgenix

Dopo il trattamento con Hemgenix il medico continuerà a monitorare il suo stato di salute. È **importante** che lei **concordi** con il suo medico **il calendario di questi esami del sangue**, in modo che vengano eseguiti come richiesto.

Enzimi epatici

Hemgenix scatena nel suo sistema immunitario una reazione che potrebbe portare a un innalzamento del livello di determinati enzimi epatici nel sangue, le transaminasi (transaminite). Il medico monitorerà regolarmente i suoi valori degli enzimi epatici per assicurarsi che il medicamento agisca come desiderato:

- per almeno i primi 3 mesi dopo la somministrazione di Hemgenix dovrà sottoporsi una volta alla settimana a esami del sangue per monitorare i valori degli enzimi epatici.
 - Se il livello dei suoi enzimi epatici aumenta, possono rendersi necessari esami del sangue più frequenti, per monitorare il livello degli enzimi epatici fino a che si siano normalizzati. È possibile che debba assumere anche un altro medicamento (corticosteroide) per trattare questi effetti collaterali.



- Se necessario, il suo medico, in accordo con uno specialista esperto nelle malattie del fegato (epatologo), potrà sottoporla ad altri esami per escludere altre cause dell'aumento degli enzimi epatici.
- A partire dal 4° mese e fino a un anno dopo la somministrazione di Hemgenix, ogni tre mesi il suo medico effettuerà altri esami degli enzimi epatici per mantenere costantemente sotto controllo la salute del suo fegato. Nel secondo anno dopo la somministrazione di Hemgenix, il suo medico controllerà gli enzimi epatici ogni sei mesi. Dopo il secondo anno, il medico le prescriverà gli esami degli enzimi epatici una volta all'anno per un periodo di almeno 5 anni dopo la somministrazione di Hemgenix.

Livello del fattore IX

Il suo medico controllerà regolarmente il suo livello di fattore IX, per verificare se il trattamento con Hemgenix ha avuto successo.

- Almeno nei primi 3 mesi dopo la somministrazione di Hemgenix verranno eseguiti settimanalmente esami del sangue per determinare il suo livello di fattore IX.

Conclusione di altre terapie per l'emofilia B

Dopo la somministrazione di Hemgenix consulti il suo medico per sapere se o quando deve terminare le sue altre terapie per l'emofilia B, e per elaborare un piano di trattamento che descriva cosa fare in caso di un'operazione, un trauma, emorragie o prima di interventi chirurgici che possono accrescere il rischio di emorragie. È molto importante che lei continui a sottoporsi ai controlli e alle visite mediche per stabilire se ha bisogno di altre terapie per il trattamento dell'emofilia B.

Coagulazione del sangue anormale (eventi tromboembolici)

Dopo il trattamento con Hemgenix i suoi livelli di proteina del fattore IX possono aumentare. In alcuni pazienti questo valore potrebbe salire al di sopra dell'intervallo di normalità per un certo periodo di tempo.

- Livelli eccessivi di fattore IX possono incrementare la capacità di coagulazione del suo sangue, aumentando il rischio di coaguli di sangue, ad es. nei polmoni (tromboembolia polmonare) o in un vaso sanguigno della gamba (trombosi venosa o arteriosa).
- Il rischio di una coagulazione del sangue eccessiva può risultare aumentato, se ha già problemi al cuore e ai vasi sanguigni, ad es. una storia di malattia cardiaca (malattia cardiovascolare), arterie spesse e rigide (arteriosclerosi), pressione sanguigna alta (ipertensione arteriosa) oppure se soffre di diabete o ha più di 50 anni di età.
- Il suo medico controllerà regolarmente il suo sangue per rilevare eventuali variazioni dei livelli di fattore IX, in particolare se continua a ricevere la profilassi standard con fattore IX (terapia sostitutiva con fattore IX) dopo la somministrazione di Hemgenix (cfr. anche la rubrica «Come usare Hemgenix?»).
- Si rivolga immediatamente al suo medico se nota segni di coagulazione del sangue alterata quali dolore toracico improvviso, fiato corto, insorgenza improvvisa di debolezza muscolare, perdita di sensibilità e/o disturbi dell'equilibrio, attenzione diminuita, difficoltà a parlare o gonfiore di una o entrambe le gambe.

Rischio di una malattia maligna del fegato (cancerogenicità epatocellulare)

- Hemgenix arriva alle cellule del fegato e potrebbe potenzialmente insediarsi nel DNA delle cellule epatiche o nel DNA di altre cellule dell'organismo. Di conseguenza Hemgenix potrebbe contribuire al rischio di cancro, p. es. cancro al fegato (carcinoma epatocellulare). Sebbene finora gli studi



clinici non abbiano fornito evidenze in tal senso, a causa del tipo di medicamento non si può escludere questo rischio. Dovrebbe quindi discutere questa eventualità con il suo medico.

- Se lei è un paziente con fattori di rischio preesistenti per il carcinoma epatocellulare (p. es. se ha cirrosi epatica, fibrosi epatica [cicatizzazione e ispessimento del fegato], epatite B, epatite C o malattia del fegato grasso [steatosi epatica non alcolica, NAFLD]), il suo medico monitorerà regolarmente (p. es. annualmente) la sua salute epatica a lungo termine per almeno 5 anni dalla somministrazione di Hemgenix ed eseguirà i seguenti esami:
 - ecografia annuale del fegato e
 - esame annuale del sangue per determinare un eventuale aumento della cosiddetta fetoproteina alfa.

Divieto di donazione di sangue e di donazioni per trapianti

Per assicurare che persone che non hanno l'emofilia B non vengano in contatto con Hemgenix attraverso processi di eliminazione, dopo il trattamento con Hemgenix non deve donare sangue, né organi, tessuti e cellule per trapianti.

Eliminazione

Il principio attivo di Hemgenix può venire temporaneamente eliminato tramite il sangue, lo sperma e altre escrezioni corporee. Per almeno 6 mesi dopo il trattamento con etranacogene dezaparvovec deve utilizzare un metodo anticoncezionale di barriera.

Il rischio di effetti nocivi per la salute umana per contatto accidentale e i rischi per l'ambiente sono tuttavia considerati trascurabili.

Hemgenix contiene sodio e potassio

Il medicamento contiene 35,2 mg di sodio (il principale componente del sale da cucina) per flaconcino. Ciò corrisponde all'1,8% dell'apporto massimo giornaliero di sodio con l'alimentazione raccomandato per un adulto.

Questo medicamento contiene potassio, meno di 1 mmol (39 mg) per flaconcino, cioè è essenzialmente «senza potassio».

Capacità di condurre veicoli e di usare macchine

Hemgenix non ha effetti o ha un effetto limitato sulla capacità di guidare veicoli e sulla capacità di utilizzare macchine. Tuttavia alcuni degli effetti indicati nella rubrica «Quali effetti collaterali può avere Hemgenix?» possono temporaneamente compromettere la capacità di guidare veicoli o di utilizzare macchine.

Informi il suo medico o il suo farmacista nel caso in cui:

- soffra di altre malattie,
- soffra di allergie o
- assuma altri medicinali (anche se acquistati di sua iniziativa!).

Si può usare Hemgenix durante la gravidanza o l'allattamento?

Non ci sono dati disponibili sull'uso di Hemgenix in donne con emofilia B.

Come usare Hemgenix?

Hemgenix le viene somministrato in un centro di trattamento clinico sotto la supervisione di un medico esperto e con adeguata formazione nel trattamento della sua malattia, l'emofilia B.

Il medico determinerà la dose giusta per lei in base al suo peso corporeo.

La dose è di 2×10^{13} copie di genoma, l'unità in cui viene misurato Hemgenix, per kg del suo peso corporeo.



Hemgenix le viene somministrato **una sola volta** con un'unica infusione lenta (tramite flebo) in una vena dopo essere stato diluito con una soluzione di cloruro di sodio allo 0,9% (soluzione salina isotonica).

Fine del trattamento con fattore IX esogeno

- Possono volerci diverse settimane prima che l'infusione di Hemgenix produca un migliore controllo del sanguinamento ed è quindi possibile che lei debba continuare la terapia sostitutiva con fattore IX esogeno nelle prime settimane successive all'infusione.
- Il medico monitorerà regolarmente il livello di attività del fattore IX nel suo sangue, ossia settimanalmente per almeno i primi 3 mesi e in seguito a intervalli regolari, e deciderà se e quando lei debba ricevere, ridurre o sospendere la terapia con fattore IX esogeno (v. rubrica «Quando è richiesta prudenza nell'uso di Hemgenix?»).

Se ha domande sull'impiego di Hemgenix, si rivolga al suo medico.

Non modifichi di propria iniziativa la posologia prescritta. Se ritiene che l'azione del medicamento sia troppo debole o troppo forte, ne parli al suo medico.

Bambini e adolescenti

L'uso e la sicurezza di Hemgenix in bambini e adolescenti di età inferiore a 18 anni non sono stati finora esaminati.

Quali effetti collaterali può avere Hemgenix?

Come tutti i medicinali, anche questo medicamento può causare effetti indesiderati, sebbene non tutte le persone li manifestino.

Se manifesta una reazione all'infusione (v. sotto), informi immediatamente il suo medico e richieda un trattamento medico di urgenza.

Informi il suo medico se osserva altri effetti collaterali. I seguenti effetti collaterali sono stati osservati in studi clinici con Hemgenix.

Molto comune (riguarda più di 1 persona su 10)

- Cefalea
- Malattia simil-influenzale
- Innalzamento dei valori degli enzimi epatici nel sangue (alanina aminotransferasi aumentata)
- Reazione correlata all'infusione (ipersensibilità, reazione nel sito di infusione, capogiro, prurito oculare, vampate di calore, dolore addominale superiore, orticaria, fastidio al torace e piressia (febbre)).

Comune (riguarda da 1 a 10 persone su 100)

- Capogiro
- Indisposizione (nausea)
- Malessere
- Affaticamento (stanchezza)
- Innalzamento di valori degli enzimi epatici nel sangue (aspartato aminotransferasi aumentata)
- Innalzamento dei valori ematici di creatinfosfochinasi, un enzima (proteina) presente soprattutto nel cuore, nel cervello e nella muscolatura scheletrica
- Innalzamento dei valori ematici di bilirubina, un prodotto giallo della degradazione dei globuli rossi

Se osserva effetti collaterali, si rivolga al suo medico o al farmacista, soprattutto se si tratta di effetti collaterali non descritti in questo foglietto illustrativo. Può segnalare gli effetti collaterali anche direttamente, tramite il sistema di notifica nazionale. Segnalando gli effetti collaterali, lei può contribuire a rendere



disponibili maggiori informazioni sulla sicurezza di questo medicamento.

Di che altro occorre tener conto?

Le informazioni seguenti sono riservate al personale medico specializzato.

Poiché questo medicamento viene impiegato in un centro di trattamento clinico, il personale clinico è responsabile della corretta conservazione del medicamento prima del suo impiego e durante la somministrazione, come pure del suo corretto smaltimento.

Conservi questo medicamento fuori dalla portata dei bambini.

Stabilità

Il medicamento non deve essere utilizzato oltre la data indicata con «EXP» sul contenitore.

Particolari precauzioni per la conservazione

Conservare in frigorifero (2-8 °C). Non congelare.

Conservare i flaconcini nella scatola originale, per proteggere il contenuto dalla luce.

Termine di consumo dopo l'apertura

Dopo la diluizione con soluzione iniettabile di cloruro di sodio allo 0,9% (9 mg/ml), Hemgenix può essere conservato al riparo dalla luce a 15-25 °C nella sacca per infusione per un periodo fino a 24 ore dopo la preparazione della dose.

Smaltimento

Non gettare i medicinali nell'acqua di scarico o nei rifiuti domestici. Restituite i medicinali scaduti o non più necessari, in uso nelle economie domestiche, presso un punto di dispensazione (farmacie) o nei punti di raccolta. Queste misure aiutano a proteggere l'ambiente.

Cosa contiene Hemgenix?

Hemgenix è un concentrato per soluzione per infusione (concentrato sterile).

Hemgenix è una soluzione trasparente, incolore.

Dopo la diluizione, la soluzione di etranacogene dezaparvovec deve apparire trasparente e incolore.

Non usi il medicamento se nella soluzione sono visibili particelle, torbidità o alterazioni di colore.

Principi attivi

Il principio attivo è l'etranacogene dezaparvovec. Ogni flaconcino di Hemgenix contiene 1×10^{13} copie di genoma (cg)/ml di etranacogene dezaparvovec.

Esso contiene un vettore geneticamente modificato a base di virus adeno-associato di sierotipo 5 (AAV5).

Sostanze ausiliarie

Gli altri componenti (sostanze ausiliarie) sono: saccarosio, polisorbato 20, potassio cloruro, potassio fosfato monobasico, sodio cloruro, sodio fosfato dibasico, acido cloridrico (per la regolazione del pH), acqua per preparazioni iniettabili (v. anche la rubrica «Quando non si può usare Hemgenix?»).

Numero dell'omologazione

68780 (Swissmedic)

Dove è ottenibile Hemgenix? Quali confezioni sono disponibili?

Nelle farmacie ospedaliere, dietro presentazione della prescrizione medica non rinnovabile.

Hemgenix è fornito in flaconcini da 10 ml di etranacogene dezaparvovec.



Il numero totale di flaconcini di ogni confezione corrisponde alla dose richiesta per ciascun paziente in base al suo peso corporeo ed è indicato sulla confezione.

Titolare dell'omologazione

CSL Behring AG, Berna

Questo foglietto illustrativo è stato controllato l'ultima volta nel luglio 2026 dall'autorità competente in materia di medicinali (Swissmedic).

