

Swissmedic erteilt Roche die Zulassungserweiterung für prophylaktische Therapie von Menschen mit moderater oder milder Hämophilie A

- **Hemlibra ist neu auch für die Behandlung von Menschen aller Altersgruppen mit moderater oder milder Hämophilie A zugelassen.**
- **Erste und einzige Hämophilie-Prophylaxe, die subkutan und in verschiedenen Applikationsintervallen (wöchentlich, alle zwei oder alle vier Wochen) verabreicht werden kann.¹**

Basel, 5. September 2022 – Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) gab heute bekannt, dass Hemlibra® (Emicizumab) vom Schweizerischen Heilmittelinstitut Swissmedic die Zulassungserweiterung zur Behandlung der moderaten oder milden Hämophilie A ohne Faktor VIII-Inhibitoren erhalten hat.

Die subkutane Therapie mit dem bispezifischen Antikörper Emicizumab (Hemlibra), ist bereits seit dem 6. November 2018 in der Schweiz für Patienten mit schwerer Hämophilie A mit Antikörpern gegen den Gerinnungsfaktor VIII (FVIII), sogenannte Hemmkörper oder Inhibitoren, und seit August 2019 für Menschen mit schwerer Hämophilie A ohne Hemmkörper zugelassen. Hemlibra kann in allen zugelassenen Indikationen altersunabhängig angewendet werden.¹ Die Zulassungserweiterung beruht auf der multizentrischen, offenen, einarmigen Phase III Studie HAVEN 6 (BO41423).²

Hämophilie ist eine schwerwiegende, vererbte Blutgerinnungsstörung, die unkontrollierte und oft spontane Blutungen verursachen kann. Neben einem erhöhten Risiko durch äussere Verletzungen können bei Menschen mit Hämophilie A auch spontane innere Blutungen in Muskulatur und Gelenke auftreten. Besonders oft betroffen sind Kniegelenke, Ellbogen und Knöchel. Hemlibra hat das Potential, diesen Blutungen vorzubeugen.^{2,3}

Dazu sagt Dr. med. Jean-Marc Häusler, Country Medical Director, Roche Pharma Schweiz: “Es freut uns sehr, dass Hemlibra nun auch für Personen mit moderater oder milder Hämophilie A zugelassen worden ist. Denn die Vorbeugung von Blutungen kann besonders für kleine Kinder und ihre Angehörigen herausfordernd sein. Mit weniger häufigen Behandlungen kann das Medikament potentiell zu Blutungsfreiheit und somit mehr Lebensqualität führen.”

Hämophilie A wird durch einen Mangel des Gerinnungsfaktors VIII (FVIII) verursacht, wodurch die Blutgerinnung gestört wird. In der Schweiz sind rund 600 Menschen betroffen. Die Behandlung mit Hemlibra unterscheidet sich grundlegend von der bisherigen Substitutionstherapie mit Faktor VIII-Präparaten, die intravenös injiziert werden. Als monoklonaler Antikörper wird Hemlibra subkutan appliziert und aufgrund der langen

Halbwertszeit von über 26 Tagen¹ stehen mit Hemlibra wöchentliche, zweiwöchentliche oder vierwöchentliche Behandlungsintervalle zur Verfügung.¹ Hemlibra bindet sowohl an aktivierten Gerinnungsfaktor IX (FIXa) als auch an Gerinnungsfaktor X (FX), ahmt dadurch die Funktion von FVIII nach und stellt damit die Blutgerinnung weitgehend wieder her.⁴

Einfachere Handhabung bedeutet mehr Lebensqualität

Mit Hemlibra steht Menschen mit kongenitaler Hämophilie A unabhängig vom Hemmkörperstatus und vom Schweregrad der Erkrankung eine Behandlungsoption zur Verfügung, die eine wirksame Blutungskontrolle und leichte Handhabung bietet. Neben der klinisch relevanten Reduktion von Blutungen,^{2,3,5-8} stellt die einfache Anwendung ein weiterer Vorzug dar: Der Wirkstoff Emicizumab wird subkutan ins Unterhautfettgewebe injiziert, beispielsweise in Oberschenkel oder Bauch.¹ Von dieser Applikationsmethode profitieren besonders Menschen mit kongenitaler Hämophilie A, die einen erschwerten venösen Zugang aufweisen, wie zum Teil Kinder oder ältere Menschen. Durch die drei Behandlungsintervalle (einmal wöchentlich, zweiwöchentlich oder vierwöchentlich) können von Hämophilie A Betroffenen das Therapieschema auswählen, welches am besten in ihren Alltag und zu ihrer aktuellen Lebenssituation passt. Im Rahmen des HAVEN-Prüfprogramms wurde demonstriert, dass über 90% der Studienteilnehmer Emicizumab ihrer vorherigen Hämophilietherapie bevorzugten.^{2,7,8}

Klinische Studien

Die Zulassungserweiterung beruht auf der multizentrischen, offenen, einarmigen Phase III Studie HAVEN 6 (BO41423)². Das Ziel war es die Sicherheits- und Wirksamkeitsdaten aus dem bisherigen HAVEN-Prüfprogramm zur Untersuchung des Einsatzes von Emicizumab bei Menschen mit schwerer kongenitaler Hämophilie A (einschliesslich der randomisierten Studien BH29884 [HAVEN 1]⁴ und BH30071 [HAVEN 3]⁷) mit denen der Population der milden und moderaten Hämophilie A zu ergänzen, um ein konsistentes Nutzen-Risiko Verhältnis aufzuzeigen. Im Behandlungszeitraum von im Median (IQR) 55,6 (8,7-89,9) Wochen zeigte Emicizumab (Hemlibra) in der Studienpopulation der milden und moderaten Hämophilie A konsistente Wirksamkeit bei allen analysierten Blutungsendpunkten und eine klinisch signifikante Blutungskontrolle im Einklang mit früheren HAVEN-Studien.^{2,3,5-8} Es wurden keine neuen Sicherheitssignale mit Emicizumab in der nicht-schweren Hämophilie A-Population identifiziert. Damit bietet Emicizumab (Hemlibra) eine wirksame Behandlungsoption mit einem günstigen Sicherheitsprofil für Menschen mit milder und moderater kongenitaler Hämophilie A ohne FVIII-Hemmkörper, die eine prophylaktische Therapie benötigen.

Über Hemlibra® (Emicizumab)

Hemlibra ist ein bispezifischer Antikörper, der entwickelt wurde, um FIXa und FX, Proteine, die an der natürlichen Gerinnungskaskade beteiligt sind, zu binden, diese dadurch zusammenzuführen und den Blutgerinnungsprozess bei Menschen mit Hämophilie A wiederherzustellen. Hemlibra ist eine prophylaktische (vorbeugende) Behandlung, die durch

Injektion einer gebrauchsfertigen Lösung unter die Haut (subkutan) einmal wöchentlich, einmal alle zwei Wochen oder einmal alle vier Wochen (nach einer anfänglichen einmal wöchentlichen Dosis in den ersten vier Wochen) verabreicht werden kann. Hemlibra wurde von Chugai Pharmaceutical Co., Ltd. erforscht und wird weltweit von Chugai, Roche und Genentech gemeinsam entwickelt.

Über Hämophilie A

Hämophilie A ist eine schwere Erbkrankheit, bei der das Blut nicht richtig gerinnt, was zu unkontrollierten und oft spontanen Blutungen führt. Weltweit sind etwa 815'000 Menschen von Hämophilie A betroffen⁹, von denen etwa 45% eine schwere Form der Erkrankung aufweisen. Menschen mit Hämophilie A haben entweder zu wenig oder keinen Gerinnungsfaktor VIII. Bei einem gesunden Menschen bringt FVIII im Falle einer Blutung die Gerinnungsfaktoren IXa und X zusammen, was ein entscheidender Schritt bei der Bildung eines Blutgerinnsels ist, um die Blutung zu stoppen. Je nach Schweregrad der Erkrankung können Menschen mit Hämophilie A häufig bluten, insbesondere in die Gelenke oder Muskeln. Diese Blutungen können ein erhebliches gesundheitliches Problem darstellen, da sie häufig Schmerzen verursachen und zu chronischen Schwellungen, Deformierungen, eingeschränkter Mobilität und langfristig zu Gelenkschäden führen können. Eine schwerwiegende Therapiekomplication stellt die Entwicklung von Hemmkörpern gegen die FVIII-Ersatztherapien dar. Bei den Hemmkörpern handelt es sich um vom körpereigenen Immunsystem entwickelte Antikörper, die den Ersatzfaktor VIII binden, dadurch dessen Funktion mit dem Resultat, dass die Blutgerinnung gestört ist, blockieren. Abhängig von der Anzahl gebildeter Hemmkörper kann die Blutgerinnung derart unterdrückt werden, dass eine zeitnahe und angemessene Blutstillung mit einer FVIII-Ersatztherapie nicht mehr möglich ist.

Über Roche in der Hämatologie

Roche entwickelt seit mehr als 20 Jahren Medikamente für Menschen mit bösartigen und nicht-bösartigen Blutkrankheiten; unsere Erfahrung und unser Wissen in diesem Therapiebereich sind umfassend. Heute investieren wir mehr denn je in unser Bestreben, Patienten innovative Behandlungsmöglichkeiten für ein breites Spektrum von hämatologischen Erkrankungen zu bieten.

Über Roche

Roche wurde 1896 in Basel, Schweiz, als einer der ersten industriellen Hersteller von Markenarzneimitteln gegründet und hat sich zum weltweit grössten Biotechnologieunternehmen und zum globalen Marktführer in der In-vitro-Diagnostik entwickelt. Das Unternehmen strebt nach wissenschaftlicher Exzellenz, um Medikamente und Diagnostika zu entdecken und zu entwickeln, die das Leben von Menschen auf der ganzen Welt verbessern und retten. Wir sind ein Pionier auf dem Gebiet der personalisierten Medizin und wollen die Art und Weise, wie die Gesundheitsversorgung erbracht wird, weiter voranbringen, um einen noch grösseren Nutzen zu erzielen. Damit jeder Mensch die

bestmögliche Behandlung erhält, arbeiten wir mit vielen Partnern zusammen und kombinieren unsere Stärken in den Bereichen Diagnostik und Pharma mit Erkenntnissen von Daten aus der klinischen Praxis.

In Anerkennung unserer konsequent langfristigen Ausrichtung wurde Roche von den Dow Jones Sustainability Indices zum dreizehnten Mal in Folge als eines der nachhaltigsten Unternehmen der Pharmabranche ausgezeichnet. Dieser Erfolg ist auch auf unser Engagement zurückzuführen, gemeinsam mit lokalen Partnern den Zugang zur Gesundheitsversorgung zu verbessern.

Genentech in den USA gehört vollständig zur Roche-Gruppe. Roche ist Mehrheitsaktionär von Chugai Pharmaceutical, Japan.

Weitere Informationen finden Sie unter www.roche.com.

Alle erwähnten Markennamen sind gesetzlich geschützt.

Referenzen

- [1] Hemlibra® (Emicizumab) Fachinformation, Stand der Information Juli 2022, www.swissmedicinfo.ch
- [2] Hermans C, et al. Emicizumab Prophylaxis for the Treatment of People with Moderate or Mild Hemophilia A without Factor VIII Inhibitors: Results from the Primary Analysis of the HAVEN 6 Study. Presented at: International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH) Congress; 2022 July 11. Abstract OC 30.5
- [3] Callaghan M, et al. Long term outcomes with emicizumab prophylaxis for hemophilia A with or without FVIII inhibitors from the HAVEN 1-4 studies. *Blood* 2021; 137(16):2231-2242
- [5] Oldenburg, Johannes et al. "Emicizumab Prophylaxis in Hemophilia A with Inhibitors." *The New England journal of medicine* vol. 377,9 (2017): 809-818. doi:10.1056/NEJMoa1703068
- [6] Young, Guy et al. "A multicenter, open-label phase 3 study of emicizumab prophylaxis in children with hemophilia A with inhibitors." *Blood* vol. 134,24 (2019): 2127-2138. doi:10.1182/blood.2019001869
- [4] Sampei, Zenjiro et al. "Identification and multidimensional optimization of an asymmetric bispecific IgG antibody mimicking the function of factor VIII cofactor activity." *PloS one* vol. 8,2 (2013): e57479. doi:10.1371/journal.pone.0057479
- [7] Mahlangu, Johnny et al. "Emicizumab Prophylaxis in Patients Who Have Hemophilia A without Inhibitors." *The New England journal of medicine* vol. 379,9 (2018): 811-822. doi:10.1056/NEJMoa1803550
- [8] Pipe, Steven W et al. "Efficacy, safety, and pharmacokinetics of emicizumab prophylaxis given every 4 weeks in people with haemophilia A (HAVEN 4): a multicentre, open-label, non-randomised phase 3 study." *The Lancet. Haematology* vol. 6,6 (2019): e295-e305. doi:10.1016/S2352-3026(19)30054-7
- [9] World Federation of Hemophilia. World Federation of Hemophilia report on the annual global survey 2019

Medienstelle Roche-Gruppe

Telefon: +41 61 688 8888 / E-Mail: media.relations@roche.com

Dr. Hans Trees

Telefon: +41 61 687 41 47

Sileia Urech

Telefon: +41 79 935 81 48

Dr. Barbara von Schnurbein

Telefon: +41 61 687 89 67

Karsten Kleine

Telefon: +41 61 682 28 31

Nina Mählitz

Telefon: +41 79 327 54 74

Nathalie Altermatt

Telefon: +41 61 687 43 05