

**Roche und Chugai sind zutiefst betroffen, dass Stand heute sechs erwachsene Patienten, die mit Hemlibra® (Emicizumab) behandelt wurden, verstorben sind. In allen Fällen wurde vom behandelnden Arzt oder Prüfarzt die Todesursache als nicht mit dem Medikament Hemlibra in Zusammenhang stehend eingestuft. Die Fälle traten im Zeitraum 2016 bis Mai 2018 bei Patienten mit Hämophilie A und Hemmkörpern gegen FVIII auf. Bis heute sind über 600 Menschen mit Hämophilie A mit Hemlibra sowohl in als auch außerhalb von klinischen Studien behandelt worden.**

Anlässlich des aktuellen Interesses möchten wir die Sachlage transparent darlegen:

Hemlibra wird seit 2015 in zulassungsrelevanten klinischen Studien bei Menschen mit Hämophilie A und Hemmkörpern gegen FVIII untersucht. Auf Einzelfallanfrage von Ärzten und nach Einwilligung der Patienten wurde der Wirkstoff von Roche auch in einigen Ländern vor Zulassung im Rahmen von Härtefallprogrammen (Compassionate Use Programmen)<sup>1</sup> und in einem Expanded Access Programm<sup>2</sup> in den USA zur Verfügung gestellt. Die klinischen Studien haben das positive Nutzen/Risiko-Profil von Hemlibra gezeigt und zur Zulassung für Menschen mit Hämophilie A und Hemmkörpern in den USA<sup>3</sup>, der EU<sup>4</sup> und anderen Ländern geführt.

Seit 2016 sind sechs Erwachsene mit Hämophilie A und Hemmkörpern, die mit Hemlibra behandelt wurden, verstorben. Einer der Patienten war Teilnehmer der Zulassungsstudie HAVEN 1, einer Teilnehmer im Expanded Access Programm in den USA, ein weiterer Patient wurde nach Zulassung mit Hemlibra behandelt und drei Personen wurde Hemlibra über Härtefallprogramme zur Verfügung gestellt. In Härtefallprogramme dürfen Patienten auf Einzelfallbasis aufgenommen werden. Voraussetzung dafür ist eine schwerwiegende oder lebensbedrohliche Situation des Patienten, der mit einem zugelassenen Arzneimittel nicht behandelt werden und nicht an einer klinischen Studie teilnehmen kann. In Deutschland gibt es aufgrund der strengen Einschlusskriterien kein Compassionate Use Programm für Hemlibra.

In jedem der sechs Todesfälle zeigten die Untersuchungen der behandelnden Ärzte oder Studienprüfarzte, dass die jeweilige Todesursache in keinem Zusammenhang mit Hemlibra steht. Basierend auf den Ergebnissen und den zur Verfügung stehenden Informationen beeinträchtigen diese Ereignisse nicht das derzeit bekannte Nutzen/Risiko-Profil von Hemlibra.

Die Sicherheit der Patienten steht für Roche und Chugai an erster Stelle, weshalb die Arzneimittelsicherheit aller Medikamente von Roche und Chugai, einschließlich Hemlibra, kontinuierlich mit standardisierten Prozessen überwacht und alle Ereignisse umgehend und konform allen Vorschriften an die Aufsichtsbehörden gemeldet werden. Die Fachinformation ist in Ländern, in denen Hemlibra zugelassen ist, die primäre Informationsquelle zu Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels.

- 1) Compassionate Use Programme können bei Härtefällen auf Anfragen bei Roche durch die behandelnden Ärzte zur Verfügung gestellt werden, falls der Zustand der Patienten ernsthaft oder lebensbedrohlich ist und alle anderen Behandlungsoptionen ausgeschöpft sind und sie nicht in der Lage sind, an einer klinischen Studie teilzunehmen.
- 2) Das von der FDA geprüfte und genehmigte Expanded Access Programm von Genentech ermöglichte US-Patienten den Zugang zu Hemlibra vor Zulassung, wenn diese nicht an klinischen Studien zu Hemlibra teilnehmen konnten, jedoch den Einschlusskriterien des zentralen Studienprogramms entsprachen.
- 3) Hemlibra<sup>®</sup> ist in den USA für die Routine-Prophylaxe bei Erwachsenen und Kindern mit Hämophilie A und Hemmkörper gegen FVIII zugelassen, um das Auftreten von Blutungen zu verhindern oder zu reduzieren.
- 4) Hemlibra<sup>®</sup> ist in der Europäischen Union (EU) zur Routine-Prophylaxe bei Erwachsenen und Kindern mit Hämophilie A und Hemmkörpern gegen Faktor VIII zugelassen.