



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/264781/2024
EMA/H/C/004774

Durveqtix (*fidanacogene elaparvovec*)

Общ преглед на Durveqtix и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Durveqtix и за какво се използва?

Durveqtix е лекарство, което се използва за лечение на възрастни с тежка и умерено тежка хемофилия В — наследствено нарушение на кръвосъсирването, причинено от липсата на фактор IX (протеин, необходим за съсирване на кръвта и спиране на кръвене). Използва се при възрастни, които нямат инхибитори (протеини, произведени от естествените защитни сили на организма) на фактор IX и които нямат антитела срещу вируса, съдържащ се в лекарството (вижте раздела за начина на действие на лекарството).

Durveqtix съдържа активното вещество фиданакоген елапарвовек (*fidanacogene elaparvovec*) и е вид лекарствен продукт за модерна терапия, наречен „продукт за гenna терапия“. Този вид лекарство действа чрез въвеждане на гени в организма.

Как се използва Durveqtix?

Durveqtix се отпуска по лекарско предписание. Лечението трябва да се прилага от лекар с опит в лечението на хемофилия и в сертифициран лечебен център, който е оборудван за бързо лечение на възможни реакции, свързани с инфузията.

Durveqtix се прилага еднократно под формата на еднократна инфузия (вливане) във вена с продължителност около един час. Дозата зависи от телесното тегло на пациента.

За повече информация относно употребата на Durveqtix вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Durveqtix?

Пациентите с хемофилия В имат мутации (промени) в ген, от който организъмът се нуждае, за да произвежда протеина фактор IX, отговорен за съсирването на кръвта, което води до намаляване или липса на активност на фактор IX. Без достатъчно фактор IX кръвта не може да се съсирва правилно, за да се контролира кръвенето.

Активното вещество в Durveqtix, фиданакоген елапарвовек, се базира на вирус, който е модифициран, за да съдържа копие на гена, отговорен за производството на фактор IX. Когато се приложи на пациента, вирусът доставя гена за фактор IX в чернодробните клетки, което им

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



позволява да образуват липсващия фактор IX и по този начин да ограничават епизодите на кървене.

Видът на вируса, използван в това лекарство (адено-свързан вирус серотип Rh74), не причинява заболяване при хората.

Какви ползи от Durveqtix са установени в проучванията?

В основно проучване при 45 мъже с тежка или умерено тежка хемофилия В е установено, че Durveqtix е по-ефективен от редовната превантивна заместваща терапия с фактор IX за намаляване на епизодите на кървене.

Проучването сравнява броя на епизодите на кървене, които пациентите са имали при редовна превантивна заместваща терапия с фактор IX по време на 6-месечен период преди приема на Durveqtix, с броя, който са имали за 1-годишен период, започващ три месеца след приема на Durveqtix. Данните показват, че Durveqtix е ефективен за повишаване на нивата на фактор IX и намалява годишната честота на кървене от 4,50 до 1,44 епизода на кървене годишно. При 60 % от пациентите (27 от 45) не се появява никакво кървене в продължение на най-малко 2 години след лечението с Durveqtix.

Какви са рисковете, свързани с Durveqtix?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Durveqtix вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Durveqtix (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват повишени нива на определени чернодробни ензими (трансаминази).

Durveqtix не трябва да се прилага при хора, които са свръхчувствителни (алергични) към някоя от съставките му, които имат активна инфекция — остра (краткотрайна) инфекция, или хронична (продължителна) инфекция, която не се контролира с лекарства, или хора, които имат напреднала чернодробна фиброза или цироза (увреждане на черния дроб).

Защо Durveqtix е разрешен за употреба в ЕС?

Към момента на одобрението повечето възможности за лечение на пациенти с тежка хемофилия В включват често лечение през целия живот със заместваща терапия с фактор IX. Показано е, че Durveqtix, прилаган като еднократна инфузия, е ефективен за предотвратяване на кървене за период от най-малко 2 години, като по този начин позволява на повечето пациенти да спрат лечението с превантивна заместваща терапия с фактор IX. Отбелязано е обаче, че някои пациенти в основното проучване трябва да възобновят превантивната терапия с фактор IX, тъй като Durveqtix не действа достатъчно добре при тях. Освен това има някои неясноти относно продължителността на ползите от Durveqtix. Профилът на безопасност на Durveqtix се счита за приемлив.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Durveqtix са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Durveqtix е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“. Това означава, че е разрешен въз основа на по-малко изчерпателни данни от обичайно изискваните, тъй като отговаря на неудовлетворена медицинска нужда. Агенцията счита, че ползите от по-ранното предлагане на лекарството са по-големи от рисковете, свързани с употребата му, в периода на изчакване на допълнителни данни.

Фирмата трябва да предостави допълнителни данни за Durveqtix. Фирмата трябва да предостави дългосрочни данни за ефективността и безопасността на лекарството от текущи проучвания. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Durveqtix?

В допълнение към данните, поискани като част от разрешението за употреба под условие, фирмата, която предлага Durveqtix, ще предостави също данни от проучване, основано на регистър, с пациенти, лекувани с лекарството, за да проучи неговата дългосрочна безопасност и ефективност, както и данни от дългосрочно проучване.

Фирмата ще предостави обучителни материали за пациентите или хората, полагащи грижи за тях, както и за медицинските специалисти с информация за ползите, рисковете и неяснотите относно дългосрочните ефекти и безопасността на лекарството. Пациентите трябва да получат също карта на пациента, за да информират медицинските специалисти, че са лекувани с Durveqtix.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Durveqtix, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Durveqtix непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Durveqtix, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Durveqtix:

Допълнителна информация за Durveqtix можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.