



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanakogen elaparvovek*)

Přehled pro přípravek Durveqtix a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Durveqtix a k čemu se používá?

Durveqtix je léčivý přípravek, který se používá k léčbě dospělých s těžkou až středně těžkou hemofilií B, což je dědičná porucha krvácivosti způsobená nedostatkem faktoru IX (bílkoviny nezbytné pro tvorbu krevních sraženin k zastavení krvácení). Používá se u dospělých, u kterých nedošlo k rozvoji inhibitorů (bílkovin vytvářených přirozeným obranným systémem těla) proti faktoru IX a kteří nemají protilátky proti viru obsaženému v tomto léčivém přípravku (viz o působení přípravku).

Přípravek Durveqtix obsahuje léčivou látku fidanakogen elaparvovek a je to druh léčivého přípravku pro moderní terapie označovaný jako „přípravek pro genovou terapii“. Jedná se o druh léčivého přípravku, který působí tak, že do těla dodává geny.

Jak se přípravek Durveqtix používá?

Výdej přípravku Durveqtix je vázán na lékařský předpis. Léčbu musí podávat lékař se zkušenostmi s léčbou hemofilie a ve kvalifikovaném zařízení, které je vybaveno k okamžité léčbě možných reakcí souvisejících s infuzí.

Přípravek Durveqtix se podává jednou, a to formou jednorázové infuze (kapání) do žíly po dobu přibližně jedné hodiny. Dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta.

Více informací o používání přípravku Durveqtix naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Durveqtix působí?

Pacienti s hemofilií B vykazují mutace (změny) v genu, který tělo potřebuje k tvorbě bílkovinného faktoru IX, který se podílí na srážení krve, což vede buď ke snížení, nebo neexistenci aktivity faktoru IX. Bez dostatečného množství faktoru IX nemůže docházet ke správnému srážení krve potřebnému ke kontrole krvácení.

Léčivá látka v přípravku Durveqtix, fidanakogen elaparvovek, je založena na viru, který byl upraven tak, aby obsahoval kopii genu zodpovědného za tvorbu faktoru IX. Při podání pacientovi přeneseme virus gen pro faktor IX do jaterních buněk, což jim umožní vytvářet chybějící faktor IX a omezit tak počet epizod krvácení.

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



Typ viru používaný v tomto léčivém přípravku (adeno-asociovaný virus sérotypu Rh74) nevyvolává u lidí onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Durveqtix byly prokázány v průběhu studií?

V hlavní studii, do které bylo zařazeno 45 mužů s těžkou nebo středně těžkou hemofilií B, bylo zjištěno, že přípravek Durveqtix je při snižování počtu krvácení účinnější než pravidelná preventivní substituční léčba faktorem IX.

Studie porovnávala počet epizod krvácení, které se vyskytly u pacientů s pravidelnou preventivní substituční léčbou faktorem IX během období 6 měsíců před podáním přípravku Durveqtix, s počtem epizod krvácení zaznamenaných během 1 roku započatého 3 měsíce po podání přípravku Durveqtix. Z údajů vyplývá, že přípravek Durveqtix byl účinný při zvyšování hladin faktoru IX a snížil roční míru krvácení ze 4,50 na 1,44 krvácení za rok. U přibližně 60 % (27 ze 45) pacientů nebylo po dobu nejméně 2 let po léčbě přípravkem Durveqtix zaznamenáno žádné krvácení.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Durveqtix?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Durveqtix je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Durveqtix (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou zvýšené hladiny určitých jaterních enzymů (transamináz).

Přípravek Durveqtix se nesmí podávat osobám s přecitlivělostí (alergií) na kteroukoli složku tohoto přípravku, osobám s aktivní infekcí, což může být buď akutní (krátkodobá) infekce, nebo chronická (dlouhodobá) infekce, která není kontrolována léčivými přípravky, ani osobám s pokročilou jaterní fibrózou nebo cirhózou (zjizvením jater).

Na základě čeho byl přípravek Durveqtix registrován v EU?

V době schválení zahrnovala většina léčebných možností u pacientů s těžkou hemofilií B celoživotní častou léčbu pomocí substituční léčby faktorem IX. Bylo prokázáno, že přípravek Durveqtix podávaný formou jedné infuze je účinný při prevenci krvácení po dobu nejméně 2 let, což umožňuje většině pacientů ukončit léčbu preventivní substituční léčbou faktorem IX. Bylo však konstatováno, že někteří pacienti v hlavní studii museli obnovit preventivní léčbu faktorem IX, protože přípravek Durveqtix u nich nebyl dostatečně účinný. Navíc existují určité nejasnosti ohledně toho, jak dlouho přínosy přípravku Durveqtix přetrvávají. Bezpečnostní profil přípravku Durveqtix byl považován za přijatelný.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Durveqtix převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravku Durveqtix byla udělena „podmíněná registrace“. Znamená to, že byl schválen na základě méně komplexních údajů, než je obvykle požadováno, protože splňuje nenaplněnou léčebnou potřebu. Agentura se domnívá, že přínosy plynoucí z toho, že léčivý přípravek je k dispozici dříve, převyšují veškerá rizika spojená s jeho používáním během čekání na další důkazy.

Společnost je povinna poskytnout další údaje o přípravku Durveqtix. Musí předložit dlouhodobé údaje o účinnosti a bezpečnosti přípravku z probíhajících studií. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Durveqtix?

Kromě údajů požadovaných v rámci podmíněné registrace předloží společnost, která přípravek Durveqtix dodává na trh, také údaje z registrační studie u pacientů léčených tímto přípravkem za účelem zkoumání jeho dlouhodobé bezpečnosti a účinnosti, jakož i údaje z dlouhodobé studie.

Společnost poskytne pacientům nebo jejich pečovateli a zdravotnickým pracovníkům edukační materiály s informacemi o přínosech, rizicích a nejistotách týkajících se dlouhodobých účinků a bezpečnosti tohoto léčivého přípravku. Pacienti musí rovněž obdržet kartu pacienta s informacemi pro zdravotnické pracovníky o tom, že jsou léčeni přípravkem Durveqtix.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Durveqtix, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Durveqtix průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Durveqtix jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Durveqtix

Další informace o přípravku Durveqtix jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.