



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanacogen elaparvovec*)

En oversigt over Durveqtix, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Durveqtix, og hvad anvendes det til?

Durveqtix er et lægemiddel til behandling af voksne med svær eller moderat svær hæmofili B, en arvelig blødersygdom, der skyldes mangel på faktor IX (et protein, som er nødvendigt for at blodet kan størkne på blødningsstedet). Det anvendes til voksne, som ikke har udviklet hæmmere (proteiner, der produceres af kroppens naturlige forsvar) mod faktor IX, og som ikke har antistoffer mod det virus, der er indeholdt i lægemidlet (se afsnittet om, hvordan lægemidlet virker).

Durveqtix indeholder det aktive stof fidanacogen elaparvovec og er en type lægemiddel til avanceret terapi, som kaldes et "genterapiprodukt". Denne type lægemiddel virker ved at tilføre kroppen gener.

Hvordan anvendes Durveqtix?

Durveqtix fås kun på recept. Behandlingen skal gives af en læge, der har erfaring med behandling af hæmofili, og på en egnet klinik, der er udstyret til omgående behandling af eventuelle infusionsrelaterede reaktioner.

Durveqtix gives én gang som en enkelt infusion (drop) i en vene over ca. en time. Dosen afhænger af patientens vægt.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Durveqtix, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Durveqtix?

Patienter med hæmofili B har mutationer (forandringer) i et gen, som kroppen behøver for at danne blodstørkningsproteinet faktor IX, hvilket enten medfører nedsat eller fravær af faktor IX-aktivitet. Uden tilstrækkelig faktor IX kan blodet ikke størkne nok til at kontrollere blødninger.

Det aktive stof i Durveqtix, fidanacogen elaparvovec, er baseret på et virus, der er modificeret, så det indeholder en kopi af det gen, der danner faktor IX. Når viruset gives til patienten, vil det transportere faktor IX-genet til levercellerne, så de kan danne den manglende faktor IX og dermed begrænse blødningsepisoder.

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



Den type virus, der anvendes i dette lægemiddel (adeno-associeret virus serotype Rh74), forårsager ikke sygdom hos mennesker.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Durveqtix?

Et hovedstudie blandt 45 mænd med svær eller moderat svær hæmofili B viste, at Durveqtix er mere effektivt end den almindelige forebyggende faktor IX-erstatningsterapi til at reducere antallet af blødninger.

I studiet sammenlignedes det antal blødningsepisoder, som patienterne havde med almindelig forebyggende faktor XI-erstatningsterapi i en periode på 6 måneder, inden de fik Durveqtix, med antallet af episoder i en periode på 1 år begyndende tre måneder efter, at de havde fået Durveqtix. Data viste, at Durveqtix var effektivt til at øge faktor IX-niveauet og reducere den årlige blødningsrate fra 4,50 til 1,44 blødninger om året. Ca. 60 % af patienterne (27 ud af 45) oplevede ingen blødninger i mindst 2 år efter behandling med Durveqtix.

Hvilke risici er der forbundet med Durveqtix?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Durveqtix fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Durveqtix (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) omfatter forhøjede niveauer af visse leverenzymmer (transaminaser).

Durveqtix må ikke gives til personer, som er overfølsomme (allergiske) over for nogen af indholdsstofferne; som har en aktiv infektion, der enten er en akut (kortvarig) infektion eller en kronisk (langvarig) infektion, der ikke kontrolleres med lægemidler; eller som har fremskreden leverfibrose eller cirrhose (ardannelse på leveren).

Hvorfor er Durveqtix godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet omfattede de fleste behandlingsmuligheder for patienter med svær hæmofili B livslang hyppig behandling med faktor IX-erstatningsterapi. Durveqtix givet som en enkelt infusion viste sig at være effektivt til at forhindre blødning over en periode på mindst 2 år, hvilket gjorde det muligt for de fleste patienter at standse behandlingen med forebyggende faktor IX-erstatningsterapi. Det blev dog bemærket, at nogle patienter i hovedstudiet var nødt til at genoptage den forebyggende faktor IX-terapi, fordi Durveqtix ikke virkede godt nok for dem. Desuden er der en vis usikkerhed med hensyn til, hvor længe fordelene ved Durveqtix opretholdes. Sikkerhedsprofilen for Durveqtix anses for at være acceptabel.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Durveqtix opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Durveqtix har fået en betinget godkendelse. Det betyder, at det er blevet godkendt på grundlag af mindre omfattende oplysninger, end der normalt kræves, fordi det opfylder et udækket medicinsk behov. Agenturet mener, at fordelene ved at gøre det tilgængeligt på et tidligere tidspunkt opvejer eventuelle risici, der er forbundet med at anvende lægemidlet, mens der afventes yderligere dokumentation.

Virksomheden skal fremlægge yderligere data om Durveqtix. Den skal indsende oplysninger fra igangværende studier om lægemidlets virkning og sikkerhed på lang sigt. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Durveqtix anvendes sikkert og effektivt?

Ud over de data, der anmodes om som led i den betingede markedsføringstilladelse, skal virksomheden, der markedsfører Durveqtix, desuden fremlægge data fra et registerbaseret studie med patienter, der behandles med lægemidlet, for at undersøge dets langsigtede sikkerhed og virkning samt data fra et langtidsstudie.

Virksomheden skal udlevere uddannelsesmateriale til patienter eller deres omsorgsgivere og til sundhedspersoner med oplysninger om fordele, risici og usikkerheder om lægemidlets virkning og sikkerhed på langt sigt. Patienterne skal også have udleveret et patientkort til at informere sundhedspersoner om, at de er blevet behandlet med Durveqtix.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Durveqtix anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Durveqtix løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Durveqtix vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Durveqtix

Der findes mere information om Durveqtix på agenturets websted:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.