



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672427/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*Valoctocogen Roxaparvovec*)

Übersicht über Roctavian und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Roctavian und wofür wird es angewendet?

Roctavian ist ein Arzneimittel zur Behandlung von schwerer Hämophilie A, einer angeborenen Blutgerinnungsstörung, die durch den Mangel an einem Gerinnungsprotein, dem sogenannten Faktor VIII, verursacht wird. Es wird bei Erwachsenen angewendet, die keine Inhibitoren (Antikörper) gegen Faktor VIII und keine Antikörper gegen das Adeno-assoziierte Virus des Serotyps 5 (AAV5) haben.

Roctavian enthält den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec und ist eine Art von Arzneimittel für neuartige Therapien, das als „Gentherapeutikum“ bezeichnet wird. Diese Arzneimittel wirken, indem sie Gene in den Körper einbringen.

Hämophilie A ist „selten“, und Roctavian wurde am 21. März 2016 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622

Wie wird Roctavian angewendet?

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte unter Aufsicht eines in der Behandlung von Hämophilie oder Blutgerinnungsstörung erfahrenen Arztes eingeleitet werden. Das Arzneimittel sollte in einer Einrichtung gegeben werden, die für die unverzügliche Behandlung infusionsbedingter Reaktionen ausgestattet ist.

Roctavian wird als einzelne Infusion (Tropfinfusion) in eine Vene über mehrere Stunden gegeben. Die Dosis richtet sich nach dem Körpergewicht des Patienten. Den Patienten können andere Arzneimittel gegeben werden, um das Risiko infusionsbedingter Reaktionen zu senken.

Weitere Informationen zur Anwendung von Roctavian entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Roctavian?

Roctavian besteht aus einem Virus (AAV5), das so verändert wurde, dass es das Gen für Faktor VIII enthält, das bei Patienten mit Hämophilie A fehlt. Nach der Gabe an den Patienten soll das Virus das

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



Faktor-VIII-Gen in die Leberzellen transportieren, sodass diese den fehlenden Faktor VIII über einen langen Zeitraum bilden können. Dadurch sollte die Blutungsstörung kontrolliert werden.

Die Art des in diesem Arzneimittel verwendeten Virus (Adeno-assoziiertes Virus) verursacht keine Erkrankung beim Menschen.

Welchen Nutzen hat Roctavian in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie, an der 134 erwachsene männliche Patienten mit schwerer Hämophilie A teilnahmen, wurde festgestellt, dass Roctavian die Faktor-VIII-Aktivität wirksam steigerte und dieser Anstieg mindestens 2 Jahre lang anhielt. 104 Wochen nach Erhalt einer Einzeldosis des Arzneimittels wiesen 75,4 % der Patienten eine durchschnittliche Faktor-VIII-Aktivität von mindestens 5 Internationalen Einheiten pro Deziliter (IE/dl) auf, was ein Maß für leichte Hämophilie ist. Darüber hinaus sank die jährliche Anzahl der Blutungsepisoden um 85,5 %, und die Notwendigkeit einer zusätzlichen Faktor-VIII-Substitutionstherapie ging um 97,5 % zurück.

Welche Risiken sind mit Roctavian verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Roctavian (die mehr als 3 von 10 Behandelten betreffen können) sind erhöhte Konzentrationen der Leberenzyme Alaninaminotransferase und Aspartataminotransferase (Anzeichen für mögliche Leberprobleme), erhöhte Konzentrationen des Enzyms Lactat-Dehydrogenase (Anzeichen für eine mögliche Gewebeschädigung), Nausea (Übelkeit) und Kopfschmerzen. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Roctavian berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Roctavian darf nicht bei Patienten angewendet werden, die überempfindlich (allergisch) gegen einen der Bestandteile sind, oder die an einer aktiven oder chronischen (langfristigen) Infektion leiden, die nicht durch Arzneimittel kontrolliert wird, oder die eine signifikante Leberfibrose oder Leberzirrhose (Vernarbung der Leber) haben.

Warum wurde Roctavian in der EU zugelassen?

Patienten mit Hämophilie A benötigen eine lebenslange Behandlung mit einer oder mehreren Injektionen pro Woche oder Monat, um fehlenden Faktor VIII zu ersetzen oder nachzuahmen. Roctavian hat sich bei der Steigerung der Faktor-VIII-Aktivität bei Patienten mit Hämophilie A als wirksam erwiesen, und dieser Anstieg wird über einen Zeitraum von mindestens 2 Jahren aufrechterhalten. Die Europäische Arzneimittel-Agentur war außerdem der Auffassung, dass Roctavian, da es als einzelne Infusion verabreicht wird, den Behandlungsaufwand für Patienten mit schwerer Hämophilie A über einen Zeitraum von mindestens 2 Jahren verringern würde. Obwohl die Daten zur Langzeitsicherheit begrenzt sind, wurde das Sicherheitsprofil als akzeptabel erachtet.

Roctavian wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass die Agentur zu dem Schluss kam, dass der Nutzen von Roctavian gegenüber den Risiken überwiegt, aber das Unternehmen nach der Zulassung zusätzliche Nachweise vorlegen muss.

Die Zulassung unter „Besonderen Bedingungen“ wird auf der Grundlage weniger umfassender Daten erteilt, als normalerweise erforderlich sind. Sie wird für Arzneimittel gewährt, die eine Behandlungslücke für schwere Erkrankungen schließen und bei denen der Nutzen einer früheren Verfügbarkeit der Arzneimittel gegenüber den Risiken der Anwendung überwiegt, während auf weitere Nachweise gewartet wird. Bis Daten im erforderlichen Umfang vorliegen, wird die Agentur jedes Jahr

sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Übersicht wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Roctavian noch erwartet?

Da Roctavian eine Zulassung unter „Besonderen Bedingungen“ erteilt wurde, wird das Unternehmen, das Roctavian in Verkehr bringt, zusätzliche Daten aus laufenden Studien zur langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels bei Patienten mit schwerer Hämophilie A vorlegen und eine Studie dazu durchführen, wann die Behandlung mit Kortikosteroiden bei diesen Patienten am besten begonnen werden sollte, um Leberprobleme zu vermeiden. Das Unternehmen wird außerdem Daten aus einem Register der mit Roctavian behandelten Patienten vorlegen, um dessen langfristige Sicherheit und Wirksamkeit zu untersuchen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Roctavian ergriffen?

Das Unternehmen, das Roctavian in Verkehr bringt, wird Patienten und Angehörigen der Heilberufe Schulungsmaterialien bereitstellen, in denen der Nutzen, die Risiken und die Unsicherheiten bezüglich der Langzeitwirkungen des Arzneimittels erläutert werden. Den Patienten wird außerdem eine Patientenkarte ausgehändigt, um das medizinische Fachpersonal darüber zu informieren, dass sie Roctavian zur Behandlung von Hämophilie A erhalten haben.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Roctavian, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Roctavian kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Roctavian werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Roctavian

Weitere Informationen zu Roctavian finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.