



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanacogene elaparvovec*)

Ανασκόπηση του Durveqtix και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Durveqtix και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Durveqtix είναι ένα φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων με σοβαρή και μετρίως σοβαρή μορφή αιμορροφιλίας Β, μια κληρονομική αιμορραγική διαταραχή που προκαλείται από την έλλειψη του παράγοντα ΙΧ (μια πρωτεΐνη που απαιτείται για την παραγωγή θρόμβων στο αίμα για τη διακοπή της αιμορραγίας). Χορηγείται σε ενήλικες που δεν έχουν αναπτύξει αναστολείς (πρωτεΐνες που παράγονται από τη φυσική άμυνα του οργανισμού) του παράγοντα ΙΧ και οι οποίοι δεν διαθέτουν αντισώματα κατά του ιού που περιέχεται στο φάρμακο (βλ. παράγραφο για τον τρόπο δράσης του φαρμάκου).

Το Durveqtix περιέχει τη δραστική ουσία *fidanacogene elaparvovec* και είναι ένα είδος φαρμάκου προηγμένης θεραπείας που ονομάζεται «προϊόν γονιδιακής θεραπείας». Πρόκειται για ένα είδος φαρμάκου που δρα μέσω της χορήγησης γονιδίων στον οργανισμό.

Πώς χρησιμοποιείται το Durveqtix;

Το Durveqtix χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η θεραπεία πρέπει να χορηγείται από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία της αιμορροφιλίας και σε εξειδικευμένο κέντρο θεραπείας που είναι εξοπλισμένο για την άμεση αντιμετώπιση πιθανών αντιδράσεων που σχετίζονται με την έγχυση.

Το Durveqtix χορηγείται εφάπαξ με μία μόνο ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση) διάρκειας περίπου μίας ώρας. Η δόση εξαρτάται από το σωματικό βάρος του ασθενούς.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Durveqtix, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Durveqtix;

Οι ασθενείς με αιμορροφιλία Β παρουσιάζουν μεταλλάξεις (αλλαγές) σε ένα γονίδιο που χρειάζεται ο οργανισμός για να παράγει την πρωτεΐνη πήξης του αίματος που ονομάζεται παράγοντας ΙΧ, με αποτέλεσμα είτε τη μείωση είτε την απουσία δραστηριότητας του παράγοντα ΙΧ. Χωρίς επαρκή παράγοντα ΙΧ, το αίμα δεν μπορεί να πήξει σωστά για τον έλεγχο της αιμορραγίας.

Η δραστική ουσία του Durveqtix, η *fidanacogene elaparvovec*, βασίζεται σε έναν ιό που έχει τροποποιηθεί ώστε να περιέχει αντιγραφο του γονιδίου που είναι υπεύθυνο για την παραγωγή του

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



παράγοντα IX. Όταν χορηγείται στον ασθενή, ο ιός θα μεταφέρει το γονίδιο του παράγοντα IX στα ηπατικά κύτταρα, δίνοντάς τους τη δυνατότητα να παράγουν τον παράγοντα IX που λείπει, και ως εκ τούτου, να περιορίσουν τον αριθμό των αιμορραγικών επεισοδίων.

Ο τύπος του ιού που χρησιμοποιείται σε αυτό το φάρμακο (αδενο-σχετιζόμενος ιός με ορότυπο Rh74) δεν προκαλεί τη νόσο στους ανθρώπους.

Ποια είναι τα οφέλη του Durveqtix σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μια κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 45 άνδρες με σοβαρή ή μετρίως σοβαρή αιμορροφιλία B διαπιστώθηκε ότι το Durveqtix είναι αποτελεσματικότερο από τη συνήθη προφυλακτική θεραπεία υποκατάστασης του παράγοντα IX σε ό,τι αφορά τη μείωση του αριθμού των αιμορραγιών.

Η μελέτη συνέκρινε τον αριθμό των αιμορραγικών επεισοδίων στους ασθενείς που υποβλήθηκαν σε συνήθη προφυλακτική θεραπεία υποκατάστασης του παράγοντα IX κατά τη διάρκεια περιόδου 6 μηνών πριν από τη λήψη του Durveqtix με τον αριθμό των αιμορραγικών επεισοδίων που παρουσίασαν οι ασθενείς σε χρονικό διάστημα 1 έτους, το οποίο ξεκίνησε τρεις μήνες μετά τη λήψη Durveqtix. Τα δεδομένα κατέδειξαν ότι το Durveqtix ήταν αποτελεσματικό στην αύξηση των επιπέδων του παράγοντα IX και μείωσε τον ετήσιο ρυθμό αιμορραγίας από 4,50 έως 1,44 αιμορραγίες ανά έτος. Περίπου το 60 % των ασθενών (27 από τους 45) δεν εμφάνισαν αιμορραγία για τουλάχιστον 2 έτη μετά τη θεραπεία με Durveqtix.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Durveqtix;

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Durveqtix, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Durveqtix (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) περιλαμβάνουν αυξημένα επίπεδα ορισμένων ηπατικών ενζύμων (τρανσαμινάσες).

Το Durveqtix δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που παρουσιάζουν υπερευαισθησία (αλλεργία) σε οποιοδήποτε από τα συστατικά του φαρμάκου, πάσχουν από ενεργό λοίμωξη, η οποία είτε είναι οξεία (μικρής διάρκειας) είτε χρόνια (μακροχρόνια) και δεν ελέγχεται με φάρμακα, ή οι οποίοι πάσχουν από προχωρημένη ηπατική ίνωση ή κίρρωση (ανάπτυξη ουλώδους ιστού στο ήπαρ).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Durveqtix στην ΕΕ;

Κατά τον χρόνο της έγκρισης, οι περισσότερες θεραπευτικές επιλογές για ασθενείς με σοβαρή αιμορροφιλία B περιλάμβαναν διά βίου συχνή θεραπεία με θεραπεία υποκατάστασης του παράγοντα IX. Το Durveqtix, χορηγούμενο ως εφάπαξ έγχυση, αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην πρόληψη της αιμορραγίας για χρονικό διάστημα τουλάχιστον 2 ετών, επιτρέποντας έτσι στους περισσότερους ασθενείς να διακόψουν την προφυλακτική θεραπεία υποκατάστασης του παράγοντα IX. Ωστόσο, επισημάνθηκε ότι ορισμένοι ασθενείς στην κύρια μελέτη έπρεπε να συνεχίσουν την προφυλακτική θεραπεία του παράγοντα IX, καθώς το Durveqtix δεν ήταν αρκετά αποτελεσματικό για αυτούς. Επιπλέον, υπάρχουν ορισμένες αβεβαιότητες σχετικά με το χρονικό διάστημα που διαρκούν τα οφέλη του Durveqtix. Η εικόνα ασφάλειας του Durveqtix θεωρήθηκε αποδεκτή.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αποφάσισε ότι τα οφέλη του Durveqtix υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Durveqtix έχει λάβει έγκριση υπό όρους. Αυτό σημαίνει ότι το φάρμακο εγκρίθηκε βάσει λιγότερο ολοκληρωμένων δεδομένων από αυτά που συνήθως απαιτούνται, επειδή καλύπτει μια ανικανοποίητη ιατρική ανάγκη. Ο Οργανισμός θεωρεί ότι το όφελος από την επίσπευση της διάθεσης του φαρμάκου υπερτερεί των κινδύνων που σχετίζονται με τη χρήση του, εν αναμονή περαιτέρω αποδεικτικών στοιχείων.

Η εταιρεία πρέπει να παράσχει περαιτέρω στοιχεία για το Durveqtix. Πρέπει να υποβάλλει μακροπρόθεσμα δεδομένα σχετικά με την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια του φαρμάκου από εν εξελίξει μελέτες. Ο Οργανισμός θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Durveqtix;

Εκτός από τα δεδομένα που ζητούνται στο πλαίσιο της άδειας κυκλοφορίας υπό όρους, η εταιρεία που εμπορεύεται το Durveqtix θα παράσχει επίσης δεδομένα από μια μελέτη βάσει μητρώου με ασθενείς που έλαβαν το φάρμακο με στόχο τη μελέτη της μακροπρόθεσμης ασφάλειας και αποτελεσματικότητάς του, καθώς και δεδομένα από μακροπρόθεσμη μελέτη.

Η εταιρεία θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό στους ασθενείς ή στα άτομα που τους φροντίζουν και στους επαγγελματίες υγείας με πληροφορίες σχετικά με τα οφέλη, τους κινδύνους και τις αβεβαιότητες που συνδέονται με τις μακροπρόθεσμες επιδράσεις και την ασφάλεια του φαρμάκου. Στους ασθενείς πρέπει επίσης να χορηγείται κάρτα ασθενούς η οποία θα ενημερώνει τους επαγγελματίες της υγείας ότι τους έχει χορηγηθεί θεραπεία με Durveqtix.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Durveqtix.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Durveqtix τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Durveqtix αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Durveqtix

Περισσότερες πληροφορίες για το Durveqtix διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.