



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672428/2022  
EMA/H/C/005830

## Roctavian (*valoctocogene roxaparvovec*)

Ανασκόπηση του Roctavian και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

### Τι είναι το Roctavian και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Roctavian είναι φάρμακο για τη θεραπεία της σοβαρής αιμορροφιλίας Α, μιας κληρονομικής αιμορραγικής διαταραχής που προκαλείται από την έλλειψη μιας πρωτεΐνης πήξης που είναι γνωστή ως παράγοντας VIII. Χορηγείται σε ενήλικες που δεν διαθέτουν αναστολείς (αντισώματα) έναντι του παράγοντα VIII και δεν έχουν αντισώματα έναντι του ορότυπου 5 του αδενοσχετιζόμενου ιού (AAV5).

Το Roctavian περιέχει τη δραστική ουσία valoctocogene roxaparvovec 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.

Η αιμορροφιλία Α είναι σπάνια, και το Roctavian χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 21 Μαρτίου 2016. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622)

### Πώς χρησιμοποιείται το Roctavian;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη θεραπεία της αιμορροφιλίας ή των αιμορραγικών διαταραχών. Το φάρμακο πρέπει να χορηγείται σε περιβάλλον όπου υπάρχει εξοπλισμός για την άμεση αντιμετώπιση αντιδράσεων που σχετίζονται με την έγχυση.

Το Roctavian χορηγείται με μία μόνο έγχυση (στάγδην) σε φλέβα η οποία διαρκεί αρκετές ώρες. Η δόση εξαρτάται από το σωματικό βάρος του ασθενούς. Οι ασθενείς μπορούν να λαμβάνουν άλλα φάρμακα για τη μείωση του κινδύνου εμφάνισης αντιδράσεων που σχετίζονται με την έγχυση.

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

### Πώς δρα το Roctavian;

Το Roctavian παράγεται από έναν ιό (AAV5) ο οποίος έχει τροποποιηθεί ώστε να περιέχει το γονίδιο του παράγοντα VIII, το οποίο λείπει σε ασθενείς με αιμορροφιλία Α. Μετά τη χορήγησή του στον ασθενή, ο ιός αναμένεται να μεταφέρει το γονίδιο του παράγοντα VIII στα ηπατικά κύτταρα, επιτρέποντας σε αυτά

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



να παράγουν τον παράγοντα VIII που λείπει για μεγάλο χρονικό διάστημα. Κατ' αυτόν τον τρόπο αναμένεται να ελεγχθεί η αιμορραγική διαταραχή.

Ο τύπος του ιού που χρησιμοποιείται στο εν λόγω φάρμακο (αδενοσχετιζόμενος ιός) δεν προκαλεί νόσο στον άνθρωπο.

## **Ποια είναι τα οφέλη του Roctavian σύμφωνα με τις μελέτες;**

Σε μια κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 134 ενήλικες άρρηνες ασθενείς με σοβαρή αιμορροφιλία A διαπιστώθηκε ότι το Roctavian ήταν αποτελεσματικό στην αύξηση των επιπέδων δραστηριότητας του παράγοντα VIII και ότι η αύξηση αυτή διατηρήθηκε για τουλάχιστον 2 έτη. Μετά από διάστημα 104 εβδομάδων από τη λήψη εφάπαξ δόσης του φαρμάκου, το 75,4% των ασθενών είχαν μέσο επίπεδο δραστηριότητας του παράγοντα VIII τουλάχιστον 5 διεθνείς μονάδες ανά δεκατόλιτρο (IU/dL), το οποίο αποτελεί μέτρηση ήπιας αιμορροφιλίας. Επιπλέον, ο ετήσιος αριθμός αιμορραγικών επεισοδίων μειώθηκε κατά 85,5% και η ανάγκη για πρόσθετη θεραπεία αντικατάστασης του παράγοντα VIII μειώθηκε κατά 97,5%.

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Roctavian;**

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Roctavian (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 3 στους 10 ασθενείς) είναι αυξημένα επίπεδα των ηπατικών ενζύμων αλανίνη αμινοτρανσφεράση και ασπαρτική αμινοτρανσφεράση (ενδείξεις πιθανών ηπατικών προβλημάτων), αυξημένα επίπεδα του ενζύμου γαλακτική αφυδρογονάση (ένδειξη πιθανής βλάβης των ιστών), ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας) και πονοκέφαλος. Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Roctavian, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Roctavian δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που παρουσιάζουν υπερευαισθησία (αλλεργία) σε οποιοδήποτε από τα συστατικά του φαρμάκου ή σε άτομα τα οποία πάσχουν από ενεργό ή χρόνια (μακροχρόνια) λοίμωξη η οποία δεν ελέγχεται με φάρμακα ή από σημαντική ηπατική ίνωση ή ηπατική κίρρωση (ανάπτυξη ουλώδους ιστού στο ήπαρ).

## **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Roctavian στην ΕΕ;**

Στους ασθενείς με αιμορροφιλία A απαιτείται δια βίου θεραπεία με μία ή περισσότερες ενέσεις ανά εβδομάδα ή μήνα για την αντικατάσταση ή τη μίμηση του παράγοντα VIII που λείπει. Το Roctavian αποδείχθηκε πως είναι αποτελεσματικό στην αύξηση του επιπέδου δραστηριότητας του παράγοντα VIII σε ασθενείς με αιμορροφιλία A και πως η αύξηση αυτή διατηρείται για τουλάχιστον 2 έτη. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε επίσης ότι, το Roctavian, δεδομένου ότι χορηγείται με εφάπαξ έγχυση, θα μείωνε το βάρος της θεραπείας για τους ασθενείς με σοβαρή αιμορροφιλία A για τουλάχιστον 2 έτη. Παρά το γεγονός ότι τα δεδομένα σχετικά με τη μακροχρόνια ασφάλεια είναι περιορισμένα, η εικόνα ασφάλειας του φαρμάκου κρίθηκε αποδεκτή.

Το Roctavian έχει λάβει «έγκριση υπό όρους». Αυτό σημαίνει ότι ο Οργανισμός έκρινε ότι τα οφέλη του Roctavian υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό, αλλά η εταιρεία θα πρέπει να προσκομίσει πρόσθετα αποδεικτικά στοιχεία μετά τη χορήγηση της άδειας κυκλοφορίας.

Η έγκριση υπό όρους χορηγείται βάσει λιγότερο ολοκληρωμένων δεδομένων από αυτά που συνήθως απαιτούνται. Χορηγείται σε φάρμακα τα οποία πληρούν μια ιατρική ανάγκη η οποία δεν έχει αντιμετωπιστεί για τη θεραπεία σοβαρών νόσων, και όταν τα οφέλη της διάθεσης των φαρμάκων αυτών νωρίτερα υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με τη χρήση των φαρμάκων αυτών εν αναμονή περαιτέρω αποδεικτικών στοιχείων. Κάθε χρόνο, ο Οργανισμός θα επανεξετάζει κάθε νέο πληροφοριακό

στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο έως ότου τα δεδομένα να είναι πλήρη, και η παρούσα ανασκόπηση θα επικαιροποιείται αναλόγως.

## **Ποια στοιχεία για το Roctavian αναμένεται να υποβληθούν;**

Δεδομένου ότι το Roctavian έχει λάβει έγκριση υπό όρους, η παρασκευάστρια εταιρεία του Roctavian θα παράσχει πρόσθετα δεδομένα από τις εν εξελίξει μελέτες σχετικά με τη μακροχρόνια ασφάλεια και αποτελεσματικότητα του φαρμάκου σε ασθενείς με σοβαρή αιμορροφιλία A και θα διενεργήσει μελέτη σχετικά με τον ιδανικό χρόνο έναρξης της θεραπείας με κορτικοστεροειδή στους εν λόγω ασθενείς προκειμένου να αποφεύγονται ηπατικά προβλήματα. Η εταιρεία θα παράσχει επίσης δεδομένα από μητρώο ασθενών που έλαβαν Roctavian προκειμένου να μελετηθούν η μακροχρόνια ασφάλεια και η αποτελεσματικότητά του.

## **Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Roctavian;**

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Roctavian θα παράσχει στους ασθενείς και στους επαγγελματίες του τομέα της υγείας εκπαιδευτικό υλικό το οποίο θα εξηγεί τα οφέλη, τους κινδύνους και τις αβεβαιότητες που συνδέονται με τη μακροχρόνια επίδραση του φαρμάκου. Στους ασθενείς θα χορηγηθεί επίσης κάρτα ασθενούς η οποία θα ενημερώνει τους επαγγελματίες υγείας ότι οι συγκεκριμένοι ασθενείς έχουν λάβει το Roctavian για τη θεραπεία της αιμορροφιλίας A.

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 Roctavian.

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

## **Λοιπές πληροφορίες για το Roctavian**

Περισσότερες πληροφορίες για το Roctavian διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian).