



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672424/2022  
EMA/H/C/005830

## Roctavian (*valoctocogene roxaparvovec*)

Общ преглед на Roctavian и основания за разрешаване в ЕС

### Какво представлява Roctavian и за какво се използва?

Roctavian е лекарство за лечение на тежка хемофилия А — наследствено нарушение на кръвосъсирването, причинено от недостиг на протеина фактор VIII, отговорен за съсирването на кръвта. Използва се при възрастни, които нямат инхибитори (антитела) срещу фактор VIII и които нямат антитела срещу аденоасоцииран вирус серотип 5 (AAV5).

Roctavian съдържа активното вещество валоктокоген роксапарвовек (*valoctocogene roxaparvovec*) и е вид лекарствен продукт за модерна терапия, наречен „продукт за генна терапия“. Този вид лекарство действа чрез въвеждане на гени в организма.

Хемофилия А се счита за рядко заболяване и Roctavian е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 21 март 2016 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622).

### Как се използва Roctavian?

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да започне под наблюдението на лекар с опит в лечението на хемофилия или нарушения на кръвосъсирването. Лекарството трябва да се прилага в медицинско заведение, при което има на разположение персонал и оборудване за бързо лечение на реакции, свързани с инфузията.

Roctavian се прилага като еднократна инфузия (вливане) във вена в продължение на няколко часа. Дозата зависи от телесното тегло на пациента. Пациентите могат да приемат други лекарства за намаляване на риска от реакции, свързани с инфузията.

За повече информация относно употребата на Roctavian вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

### Как действа Roctavian?

Roctavian е произведен от вирус (AAV5), който е модифициран, за да съдържа гена за фактор VIII, който липсва при пациенти с хемофилия А. След като е приложен на пациента, се очаква вирусът да достави гена за фактор VIII в чернодробните клетки, което им позволява да

---

**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



произвеждат липсващия фактор VIII за дълъг период от време. Очаква се това да контролира нарушението на кръвосъсирването.

Използваният в този лекарствен продукт вирус (аденоасоцииран вирус) не причинява заболявания при хора.

## **Какви ползи от Roctavian са установени в проучванията?**

В основно проучване, обхващащо 134 възрастни пациенти от мъжки пол с тежка хемофилия А, е установено, че Roctavian е ефективен за повишаване на нивото на активност на фактор VIII и че това увеличение се поддържа в продължение на най-малко 2 години. 104 седмици след получаване на единична доза от лекарството, 75,4 % от пациентите имат средно ниво на активност на фактор VIII от поне 5 международни единици на децилитър (IU/dl), което е мярка за лека хемофилия. Освен това годишният брой на епизодите на кървене намалява с 85,5 %, а необходимостта от допълнително заместващо лечение с фактор VIII намалява с 97,5 %.

## **Какви са рисковете, свързани с Roctavian?**

Най-честите нежелани реакции при Roctavian (които може да засегнат повече от 3 на 10 души) са повишени нива на чернодробните ензими аланин аминотрансфераза и аспартат аминотрансфераза (признаци на възможни чернодробни проблеми), повишени нива на ензима лактатдеhidрогеназа (признак на възможно увреждане на тъканите), гадене (позиви за повръщане) и главоболие. За пълния списък на нежеланите реакции при Roctavian вижте листовката.

Roctavian не трябва да се прилага при хора, които са свръхчувствителни (алергични) към някоя от съставките му или които имат активна или хронична (продължителна) инфекция, която не се контролира с лекарства, или значителна чернодробна фиброза или цироза (увреждане на черния дроб).

## **Защо Roctavian е разрешен за употреба в ЕС?**

Пациентите с хемофилия А се нуждаят от доживотно лечение с една или повече инжекции седмично или месечно, за да заместят или имитират липсващия фактор VIII. Установено е, че Roctavian е ефективен за повишаване на нивото на активност на фактор VIII при пациенти с хемофилия А и това повишаване се поддържа в продължение на най-малко 2 години. Европейската агенция по лекарствата счита също, че тъй като Roctavian се прилага като еднократна инфузия, това ще намали тежестта на лечението за пациенти с тежка хемофилия А в продължение на най-малко 2 години. Въпреки че данните за дългосрочната безопасност са ограничени, профилът на безопасност се счита за приемлив.

Roctavian е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“. Това означава, че Агенцията е решила, че ползите от Roctavian са по-големи от рисковете, но фирмата ще трябва да представи допълнителни данни след разрешаването за употреба.

Разрешението под условие се издава въз основа на по-малко изчерпателни данни от обичайно изискваните. Издава се за лекарства, които отговарят на неудовлетворена медицинска нужда от лечение на сериозни заболявания, и когато ползите от по-ранното им предлагане превишават рисковете, свързани с употребата на лекарствата, докато се очакват допълнителни данни. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация, която се предоставя до момента, когато данните станат изчерпателни, и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

## **Каква информация се очаква за Roctavian?**

Тъй като Roctavian е разрешен по т.нар. схема „разрешаване под условие“, фирмата, която предлага Roctavian, ще предостави допълнителни данни от текущи проучвания за дългосрочната безопасност и ефективност на лекарството при пациенти с тежка хемофилия А и ще проведе проучване кога е най-добре да се започне лечение с кортикостероиди при тези пациенти, за да се избегнат чернодробни проблеми. Фирмата ще предостави също данни от регистър на пациентите, лекувани с Roctavian, за да се проучи неговата дългосрочна безопасност и ефективност.

## **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Roctavian?**

Фирмата, която предлага Roctavian, ще предостави на пациентите и медицинските специалисти обучителни материали, в които се обясняват ползите, рисковете и несигурността по отношение на дългосрочните ефекти на лекарството. Пациентите ще получат също карта на пациента, за да информират медицинските специалисти, че са получили Roctavian за лечение на хемофилия А.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Roctavian, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Roctavian непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Roctavian, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

## **Допълнителна информация за Roctavian:**

Допълнителна информация за Roctavian можете да намерите на уебсайта на Агенцията : [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian).