



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672425/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoctocogenum roxaparvovecum*)

Přehled pro přípravek Roctavian a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Roctavian a k čemu se používá?

Roctavian je léčivý přípravek k léčbě těžké hemofilie A, což je vrozená porucha koagulace krve (krvácivosti) způsobená nedostatkem bílkoviny s názvem faktor VIII, která se podílí na srážení krve. Používá se u dospělých, kteří nemají inhibitory (protilátky) proti faktoru VIII ani protilátky proti adeno-asociovanému viru sérotypu 5 (AAV5).

Přípravek Roctavian obsahuje léčivou látku valoktokogen roxaparvovek a je to druh léčivého přípravku pro moderní terapie označovaný jako „přípravek pro genovou terapii“. Jedná se o druh léčivého přípravku, který působí tak, že do těla dodává geny.

Hemofilie A je vzácné onemocnění a přípravek Roctavian byl označen dne 21. března 2016 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622.

Jak se přípravek Roctavian používá?

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla být zahájena pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou hemofilie či poruch koagulace krve. Přípravek by měl být podáván v zařízení vybaveném k okamžitému zásahu v případě reakcí spojených s infuzí.

Přípravek Roctavian se podává formou jednorázové infuze (kapání) do žíly po dobu několika hodin. Dávka přípravku závisí na tělesné hmotnosti pacienta. Pacientům mohou být podávány i jiné léčivé přípravky ke zmírnění rizika reakcí spojených s infuzí.

Více informací o používání přípravku Roctavian naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Roctavian působí?

Přípravek Roctavian je vyroben z viru (AAV5), který byl upraven tak, aby obsahoval gen pro faktor VIII, který pacientům s hemofilií A chybí. Předpokládá se, že virus po podání pacientovi přenesení gen pro faktor VIII do jaterních buněk, což jim dlouhodobě umožní vytvářet chybějící faktor VIII. Očekává se, že to povede ke kontrole poruchy koagulace krve.

Typ viru používaný v tomto přípravku (adeno-asociovaný virus) u lidí nevyvolává onemocnění.

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



Jaké přínosy přípravku Roctavian byly prokázány v průběhu studií?

V hlavní studii, do které bylo zařazeno 134 dospělých pacientů mužského pohlaví s těžkou hemofilií A, bylo zjištěno, že přípravek Roctavian je účinný při zvyšování úrovně aktivity faktoru VIII, které navíc přetrvávalo po dobu nejméně dvou let. 104 týdnů po podání jednorázové dávky léčivého přípravku vykazovalo 75,4 % pacientů průměrnou úroveň aktivity faktoru VIII nejméně 5 mezinárodních jednotek na decilitr (IU/dl) (tj. lehkou hemofilii). Kromě toho se roční počet epizod krvácení snížil o 85,5 % a potřeba další léčby k nahrazení faktoru VIII se snížila o 97,5 %.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Roctavian?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Roctavian (které mohou postihnout více než 3 osoby z 10) jsou zvýšené hladiny jaterních enzymů alaninaminotransferázy a aspartátaminotransferázy (známky možných problémů s játry), zvýšená hladina enzymu laktátdehydrogenázy (známka možného poškození tkání), nauzea (pocit na zvracení) a bolest hlavy. Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Roctavian je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Roctavian se nesmí podávat osobám s přecitlivělostí (alergií) na kteroukoli složku tohoto přípravku ani osobám s aktivní nebo chronickou (dlouhodobou) infekcí, která není kontrolována léčivými přípravky, nebo s významnou jaterní fibrózou či cirhózou (zjizvením jater).

Na základě čeho byl přípravek Roctavian registrován v EU?

Pacienti s hemofilií A vyžadují celoživotní léčbu jednou nebo více injekcemi týdně nebo měsíčně k nahrazení či napodobení chybějícího faktoru VIII. Bylo prokázáno, že přípravek Roctavian je účinný při zvyšování úrovně aktivity faktoru VIII u pacientů s hemofilií A, které navíc přetrvávalo po dobu nejméně dvou let. Evropská agentura pro léčivé přípravky rovněž usoudila, že vzhledem k tomu, že se přípravek Roctavian podává formou jednorázové infuze, snižuje léčebnou zátěž u pacientů s těžkou hemofilií A po dobu nejméně dvou let. Přestože údaje o dlouhodobé bezpečnosti jsou omezené, bezpečnostní profil byl považován za přijatelný.

Přípravku Roctavian byla udělena „podmíněná registrace“. Znamená to, že agentura rozhodla, že přínosy přípravku Roctavian převyšují jeho rizika, ale společnost bude muset předložit po udělení registrace další poznatky.

Podmíněná registrace se uděluje na základě méně komplexních údajů, než je obvykle požadováno. Uděluje se léčivým přípravkům, které splňují nenaplněnou léčebnou potřebu u závažných onemocnění, a pokud přínosy toho, že jsou k dispozici dříve, převyšují veškerá rizika spojená s jejich používáním, zatímco se očekávají další poznatky. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace, dokud údaje nebudou komplexní, a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Roctavian nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Roctavian byla udělena podmíněná registrace, společnost, která přípravek Roctavian dodává na trh, předloží další údaje z probíhajících studií o dlouhodobé bezpečnosti a účinnosti tohoto přípravku u pacientů s těžkou hemofilií A a provede studii zkoumající, kdy je u těchto pacientů nejlepší zahájit léčbu kortikosteroidy, aby se předešlo problémům s játry. Společnost také předloží údaje z registru pacientů léčených přípravkem Roctavian, aby bylo možné posoudit jeho dlouhodobou bezpečnost a účinnost.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Roctavian?

Společnost, která přípravek Roctavian dodává na trh, poskytne pacientům a zdravotnickým pracovníkům edukační materiály vysvětlující přínosy, rizika a nejistoty ohledně dlouhodobých účinků tohoto přípravku. Pacienti rovněž obdrží kartu pacienta, která bude informovat zdravotnické pracovníky o tom, že jsou léčeni přípravkem Roctavian určeným k léčbě hemofilie A.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Roctavian, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Roctavian průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Roctavian jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Roctavian

Další informace o přípravku Roctavian jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.