



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672426/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoctocogene roxaparvovec*)

En oversigt over Roctavian, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Roctavian, og hvad anvendes det til?

Roctavian er et lægemiddel til behandling af svær hæmofili A, en arvelig blødningsforstyrrelse, der skyldes mangel på blodstørkningsproteinet faktor VIII. Det anvendes hos voksne, som ikke har hæmmere (antistoffer) mod faktor VIII, og som ikke har antistoffer mod adenoassocieret virus serotype 5 (AAV5).

Roctavian indeholder det aktive stof valoctocogene roxaparvovec og er en type lægemiddel til avanceret terapi, som kaldes et "genterapiprodukt". Denne type lægemiddel virker ved at tilføre gener til kroppen.

Hæmofili A er sjælden, og Roctavian blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 21. marts 2016. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622.

Hvordan anvendes Roctavian?

Lægemidlet fås kun på recept, og behandlingen bør iværksættes under opsyn af en læge med erfaring inden for behandling af hæmofili eller blødningsforstyrrelser. Lægemidlet bør gives på en facilitet, der er udstyret til omgående behandling af infusionsrelaterede reaktioner.

Roctavian gives som en enkelt infusion (drop) i en vene over et antal timer. Dosis afhænger af patientens kropsvægt. Patienterne kan få andre lægemidler for at mindske risikoen for infusionsbetingede reaktioner.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Roctavian, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Roctavian?

Roctavian er fremstillet af et virus (AAV5), der er blevet modificeret, så det indeholder genet for faktor VIII, som patienter med hæmofili A mangler. Efter at være blevet givet til patienten forventes virusset at transportere faktor VIII-genet ind i levercellerne, så de bliver i stand til at producere den manglende faktor VIII i en lang periode. Dette forventes at kontrollere blødningsforstyrrelsen.

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



Den type virus, der anvendes i dette lægemiddel (adenoassocieret virus), medfører ikke sygdom hos mennesker.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Roctavian?

Et hovedstudie med 134 voksne mandlige patienter med svær hæmofili A viste, at Roctavian var effektivt til at øge faktor VIII-aktiviteten, og at denne stigning blev opretholdt i mindst 2 år. 104 uger efter at have modtaget en enkelt dosis af lægemidlet havde 75,4 % af patienterne et gennemsnitligt faktor VIII-aktivitetsniveau på mindst 5 internationale enheder pr. deciliter (IE/dl), hvilket er et mål for mild hæmofili. Desuden faldt det årlige antal blødningsepisoder med 85,5 %, og behovet for yderligere behandling med faktor VIII-erstatning faldt med 97,5 %.

Hvilke risici er der forbundet med Roctavian?

De hyppigste bivirkninger ved Roctavian (som kan forekomme hos mere end 3 ud af 10 personer) er forhøjede niveauer af leverenzymerne alaninaminotransferase og aspartataminotransferase (tegn på mulige leverproblemer), forhøjede niveauer af enzymet laktatdehydrogenase (tegn på mulig vævsskade), kvalme og hovedpine. Den fuldstændige liste over bivirkninger ved Roctavian fremgår af indlægssedlen.

Roctavian må ikke gives til personer, som er overfølsomme (allergiske) over for nogen af indholdsstofferne, eller som har en aktiv eller kronisk (langvarig) infektion, der ikke kontrolleres med lægemidler, eller signifikant leverfibrose eller levercirrose (ardannelse på leveren).

Hvorfor er Roctavian godkendt i EU?

Patienter med hæmofili A kræver livslang behandling med en eller flere injektioner om ugen eller måneden for at erstatte eller efterligne den manglende faktor VIII. Det er påvist, at Roctavian er effektivt til at øge faktor VIII-aktiviteten hos patienter med hæmofili A, og denne stigning opretholdes i mindst to år. Det Europæiske Lægemiddelagentur fandt også, at eftersom Roctavian gives som en enkelt infusion, ville det mindske behandlingsbyrden for patienter med svær hæmofili A i mindst to år. Selv om de langsigtede sikkerhedsdata er begrænsede, blev sikkerhedsprofilen anset for at være acceptabel.

Roctavian har fået en "betinget godkendelse". Det betyder, at agenturet konkluderede, at fordelene ved Roctavian opvejer risiciene, men at virksomheden skal fremlægge yderligere dokumentation efter godkendelsen.

En betinget godkendelse gives på grundlag af mindre omfattende data, end der normalt kræves. Det gives til lægemidler, der opfylder et udækket medicinsk behov for at behandle alvorlige sygdomme, og når fordelene ved at gøre dem tilgængelige på et tidligere tidspunkt opvejer eventuelle risici, der er forbundet med at bruge lægemidlerne, mens man afventer yderligere dokumentation. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige, indtil dataene bliver mere omfattende, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Roctavian?

Da Roctavian har fået en betinget godkendelse, skal den virksomhed, der markedsfører Roctavian, fremlægge yderligere data fra igangværende studier af lægemidlets langsigtede sikkerhed og virkning hos patienter med svær hæmofili A og udføre et studie af, hvornår det er bedst at påbegynde behandling med binyrebarkhormon hos disse patienter for at undgå leverproblemer. Virksomheden

skal også fremlægge data fra et register over patienter, der er behandlet med Roctavian, for at undersøge lægemidlets sikkerhed og virkning på lang sigt.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Roctavian?

Den virksomhed, der markedsfører Roctavian, vil udlevere oplysningsmateriale til patienter og sundhedspersoner om fordele, risici og usikkerheder ved lægemidlets langsigtede virkninger. Patienterne vil også få udleveret et patientkort med information om, at de har fået Roctavian som behandling for hæmofili A.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Roctavian.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Roctavian løbende overvåget. Formodede bivirkninger ved Roctavian vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Roctavian

Yderligere information om Roctavian findes på agenturets websted under:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.