



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672429/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoctocogén roxaparvovec*)

Información general sobre Roctavian y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Roctavian y para qué se utiliza?

Roctavian es un medicamento para el tratamiento de la hemofilia A grave, un trastorno hemorrágico hereditario causado por la falta de una proteína de coagulación conocida como factor VIII. Se utiliza en adultos que no tienen inhibidores (anticuerpos) del factor VIII y sin anticuerpos contra el virus adenoasociado de serotipo 5 (AAV5).

Roctavian contiene el principio activo valoctocogén roxaparvovec y es un tipo de medicamento de terapia avanzada denominado «medicamento de terapia génica», es decir, un tipo de medicamento que actúa introduciendo genes en el organismo.

La hemofilia A es una enfermedad rara, y Roctavian fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 21 de marzo de 2016. Puede encontrarse información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622.

¿Cómo se usa Roctavian?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá iniciarse bajo la supervisión de un médico con experiencia en el tratamiento de la hemofilia o de los trastornos hemorrágicos. El medicamento debe administrarse en una instalación equipada para tratar rápidamente las reacciones relacionadas con la perfusión.

Roctavian se administra mediante una única perfusión (goteo) en una vena durante varias horas. La dosis se calcula en función del peso del paciente. Los pacientes pueden recibir otros medicamentos para reducir el riesgo de reacciones relacionadas con la perfusión.

Para mayor información sobre el uso de Roctavian consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Roctavian?

Roctavian está hecho de un virus (AAV5) que ha sido modificado para que contenga el gen del factor VIII, del que carecen los pacientes con hemofilia A. Después de su administración al paciente, se

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



espera que el virus lleve el gen del factor VIII a las células del hígado, lo que les permitirá producir el factor VIII durante un largo período. Se espera que esto controle el trastorno hemorrágico.

El tipo de virus utilizado en este medicamento (el virus adenoasociado) no causa enfermedad en humanos.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Roctavian en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron 134 pacientes varones adultos con hemofilia A grave, se observó que Roctavian era eficaz para aumentar el nivel de actividad del factor VIII y que este aumento se mantenía durante al menos 2 años. 104 semanas después de recibir una dosis única del medicamento, el 75,4 % de los pacientes presentaba un nivel medio de actividad del factor VIII de al menos 5 unidades internacionales por decilitro (UI/dl), que es una medida de la hemofilia leve. Además, el número anual de episodios hemorrágicos se redujo un 85,5 % y la necesidad de terapia adicional de reemplazo de factor VIII disminuyó un 97,5 %.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Roctavian?

Los efectos adversos más frecuentes de Roctavian (pueden afectar a más de 3 de cada 10 pacientes) son aumento de los niveles de las enzimas hepáticas alanina aminotransferasa y aspartato aminotransferasa (signos de posibles problemas hepáticos), aumento de los niveles de la enzima lactato deshidrogenasa (signo de un posible daño tisular), náuseas (ganas de vomitar) y dolor de cabeza. La lista completa de efectos adversos notificados de Roctavian se puede consultar en el prospecto.

Roctavian no debe administrarse a personas que sean hipersensibles (alérgicas) a cualquiera de sus componentes, o que tengan una infección activa o crónica (a largo plazo) que no esté controlada con medicamentos, fibrosis hepática significativa o cirrosis hepática (formación de cicatrices en el hígado).

¿Por qué se ha autorizado Roctavian en la UE?

Los pacientes con hemofilia A necesitan un tratamiento de por vida consistente en una o más inyecciones por semana o por mes para sustituir o imitar el factor VIII del que carecen. Roctavian ha demostrado ser eficaz para aumentar el nivel de actividad del factor VIII en pacientes con hemofilia A, y este aumento se mantiene durante al menos 2 años. La Agencia Europea de Medicamentos también consideró que, dado que Roctavian se administra en una única perfusión, reduciría la carga de tratamiento para los pacientes con hemofilia A grave durante al menos 2 años. Aunque los datos de seguridad a largo plazo son limitados, el perfil de seguridad se consideró aceptable.

A Roctavian se le ha concedido una «autorización condicional». Esto significa que la Agencia ha decidido que los beneficios de Roctavian son mayores que sus riesgos, pero la empresa tendrá que aportar pruebas adicionales después de la autorización.

La autorización condicional se concede sobre la base de datos menos exhaustivos de lo que se requiere normalmente. Se concede para los medicamentos que satisfacen una necesidad médica no cubierta de tratar enfermedades graves y cuando los beneficios de disponer antes de ellos superan los riesgos asociados al uso de los medicamentos mientras se esperan más pruebas. La Agencia revisará anualmente la información nueva que esté disponible hasta que los datos sean completos y actualizará esta información general cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Roctavian?

Dado que a Roctavian se le ha concedido una autorización condicional, la empresa que comercializa Roctavian proporcionará datos adicionales de los estudios en curso sobre la seguridad y la eficacia a largo plazo del medicamento en pacientes con hemofilia A grave y llevará a cabo un estudio sobre cuándo debería iniciarse el tratamiento con corticosteroides en estos pacientes para evitar problemas hepáticos. La empresa también proporcionará datos de un registro de pacientes tratados con Roctavian para estudiar su seguridad y eficacia a largo plazo.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Roctavian?

La empresa que comercializa Roctavian proporcionará a los pacientes y a los profesionales sanitarios material educativo que explique los beneficios, los riesgos y las incertidumbres sobre los efectos a largo plazo del medicamento. Los pacientes también recibirán una tarjeta para informar a los profesionales sanitarios de que han recibido Roctavian para el tratamiento de la hemofilia A.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Roctavian se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Roctavian se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Roctavian son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Roctavian

Puede encontrar información adicional sobre Roctavian en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.