



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672430/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (valoktokogeenroksaparvovek)

Ülevaade ravimist Roctavian ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Roctavian ja milleks seda kasutatakse?

Roctavian on ravim, mida kasutatakse VIII hüübimisfaktori vaegusest põhjustatud raske A-hemofiilia raviks. Seda kasutatakse täiskasvanutel, kellel ei ole VIII hüübimisfaktori inhibiitoreid (antikehi) ja kellel puuduvad adeno-assotsieerunud viiruse serotüübi 5 (AAV5) vastased antikehad.

Roctavian sisaldab toimeainena valoktokogeenroksaparvovekit ja on geeniteraapiaravimite hulka kuuluv uudne ravim. Need on ravimid, mille toime avaldub geenide viimisel organismi.

A-hemofiilia esineb harva ja Roctavian nimetati 21. märtsil 2016 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622.

Kuidas Roctaviani kasutatakse?

Roctavian on retseptiravim. Ravi tuleb alustada hemofiilia või veritsushäirete ravis kogenud arsti järelevalve all. Ravimit tuleb manustada asutuses, kus on olemas vahendid infusioonireaktsioonide kiireks raviks.

Roctaviani manustatakse mitu tundi kestva ühekordse veeniinfusioonina. Annus sõltub patsiendi kehamassist. Patsientidele tohib manustada muid ravimeid, et vähendada infusioonireaktsioonide riski.

Lisateavet Roctaviani kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Roctavian toimib?

Roctavian koosneb viirusest (AAV5), mida on modifitseeritud, et see sisaldaks VIII hüübimisfaktori geeni, mis puudub A-hemofiiliaga patsientidel. Pärast patsiendile manustamist kannab viirus eeldatavasti VIII hüübimisfaktori geeni maksarakkudesse, võimaldades neil kaua toota puuduvat VIII hüübimisfaktorit. Eeldatakse, et see reguleerib hüübishäiret.

Ravimis kasutatav viirustüüp (adeno-assotsieerunud viirus) ei põhjusta inimese haigestumist.

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



Milles seisneb uuringute põhjal Roctaviani kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 134 raske A-hemofiiliaga täiskasvanud meespatsienti, tõendati, et Roctavian oli efektiivne VIII hüübimisfaktori aktiivsuse suurendamisel ja suurenemine püsis vähemalt 2 aastat. 104 nädalat pärast ravimi üksikannuse manustamist oli 75,4%-l patsientidest VIII hüübimisfaktori keskmine aktiivsus vähemalt 5 rahvusvahelist ühikut detsiliitri kohta (IU/dl), mis näitab kerget hemofiiliat. Lisaks vähenes veritsusepisoodide arv aastas 85,5% võrra ja VIII hüübimisfaktori täiendava asendusravi vajadus vähenes 97,5% võrra.

Mis riskid Roctavianiga kaasnevad?

Roctaviani kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 3 patsiendil 10st) on maksaensüümidealaniinaminotransferaasi ja aspartaataminotransferaasi sisalduse suurenemine (võimalike maksaprobleemide nähud), ensüümi laktaatdehüdrogenaasi sisalduse suurenemine (võimaliku koekahjustuse näht), iiveldus ja peavalu. Roctaviani kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Roctaviani ei tohi manustada patsiendid, kes on ravimi mis tahes koostisaine suhtes ülitundlikud (allergilised) või kellel on aktiivne või krooniline (pikaajaline) nakkus, mida ei reguleeri ravimid, oluline maksafibroos või maksatsirroos (maksa sidekoestumine).

Miks Roctavian ELis heaks kiideti?

A-hemofiiliaga patsiendid vajavad eluaegset ravi ühe või mitme süstiga nädalas või kuus, et asendada puuduv VIII hüübimisfaktor või seda imiteerida. Roctavian on osutunud efektiivseks VIII hüübimisfaktori aktiivsuse suurendamisel A-hemofiiliaga patsientidel ning suurenemine püsib vähemalt 2 aastat. Euroopa Raviamet leidis ka, et kuna Roctaviani manustatakse ühekordse infusioonina, vähendaks see raske A-hemofiiliaga patsientide ravikoormust vähemalt 2 aasta võrra. Kuigi pikaajalised ohutusandmed on piiratud, peeti ohutusprofiili vastuvõetavaks.

Roctavian on saanud müügiloa tingimusliku heakskiidu alusel. See tähendab, et amet otsustas, et Roctaviani kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, kuid ettevõtte peab pärast müügiloa andmist esitama täiendavaid tõendeid.

Tingimuslik müügiluba antakse vähem põhjalike andmete alusel, kui nõutakse tavapäraselt. Seda antakse ravimitele, millega ravitakse täitmata ravivajadusega raskeid haigusi ja kui täiendavaid tõendeid oodates on ravimite varasema kättesaadavuse kasulikkus suurem kui kasutamisega seotud riskid. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe kuni andmed on terviklikud ning vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

Mis teavet Roctaviani kohta veel oodatakse?

Et Roctavian on saanud müügiloa tingimusliku heakskiidu alusel, esitab Roctaviani turustaja täiendavad andmed praegu toimuvatest uuringutest ravimi pikaajalise ohutuse ja efektiivsuse kohta raske A-hemofiiliaga patsientidel ning korraldab uuringu, millal on neil patsientidel parim alustada kortikosteroidravi, et vältida maksaprobleeme. Ettevõtte esitab ka Roctavianiga ravitud patsientide registri andmed, et uurida ravimi pikaajalist ohutust ja efektiivsust.

Mis meetmed võetakse, et tagada Roctaviani ohutu ja efektiivne kasutamine?

Roctaviani turustaja annab patsientidele ja tervishoiutöötajatele teabematerjalid, milles selgitatakse ravimi pikaajalise toime kasulikkust, riske ja ebamäärasusi. Patsientidele antakse ka patsiendikaart, et teavitada tervishoiutöötajaid Roctaviani kasutamisest A-hemofiilia raviks.

Roctaviani ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Roctaviani kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Roctaviani kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Roctaviani kohta

Lisateave Roctaviani kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.