



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672432/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoctocogène roxaparvovec*)

Aperçu de Roctavian et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Roctavian et dans quel cas est-il utilisé?

Roctavian est un médicament utilisé dans le traitement de l'hémophilie A sévère, un trouble hémorragique héréditaire dû à un déficit en facteur VIII, une protéine de coagulation. Il est utilisé chez les adultes qui ne possèdent pas d'inhibiteurs (anticorps) contre le facteur VIII et qui ne possèdent pas d'anticorps contre le virus adéno-associé de sérotype 5 (AAV5).

Roctavian contient la substance active valoctocogène roxaparvovec et est un type de médicament de thérapie innovante dénommé «produit de thérapie génique». Il s'agit d'un type de médicament qui agit en apportant des gènes dans le corps.

L'hémophilie A est rare et Roctavian a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 21 mars 2016. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622.

Comment Roctavian est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie ou des troubles hémorragiques. Le médicament doit être administré dans un établissement équipé pour traiter rapidement les réactions liées à la perfusion.

Roctavian est administré en une seule perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine pendant un certain nombre d'heures. La dose dépend du poids corporel du patient. D'autres médicaments peuvent être administrés aux patients afin de réduire le risque de réactions liées à la perfusion.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Roctavian, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Roctavian agit-il?

Roctavian est constitué d'un virus (AAV5) qui a été modifié pour contenir le gène du facteur VIII, qui fait défaut chez les patients atteints d'hémophilie A. Après avoir été administré au patient, le virus est censé transporter le gène du facteur VIII dans les cellules du foie, ce qui leur permet de produire le

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



facteur VIII manquant pendant une longue période. Cela devrait permettre de contrôler les troubles hémorragiques.

Le type de virus utilisé dans ce médicament (virus adéno-associé) ne provoque pas de maladie chez l'homme.

Quels sont les bénéfices de Roctavian démontrés au cours des études?

Une étude principale portant sur 134 patients adultes de sexe masculin atteints d'hémophilie A sévère a montré que Roctavian était efficace pour augmenter le niveau d'activité du facteur VIII et que cette augmentation se maintenait pendant au moins deux ans. 104 semaines après avoir reçu une dose unique du médicament, 75,4 % des patients présentaient un niveau moyen d'activité du facteur VIII d'au moins 5 unités internationales par décilitre (UI/dL), ce qui est une mesure de l'hémophilie légère. En outre, le nombre annuel d'épisodes hémorragiques a diminué de 85,5 % et la nécessité d'un traitement supplémentaire de remplacement du facteur VIII a diminué de 97,5 %.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Roctavian?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Roctavian (qui peuvent toucher plus de trois personnes sur 10) sont les suivants: augmentation des taux des enzymes hépatiques alanine aminotransférase et aspartate aminotransférase (signes d'éventuels problèmes hépatiques), augmentation des taux de l'enzyme lactate déshydrogénase (signe de lésions tissulaires possibles), nausées (sensation de malaise) et maux de tête. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Roctavian, voir la notice.

Roctavian ne doit pas être administré aux personnes présentant une hypersensibilité (allergie) à l'un de ses composants, ou présentant une infection active ou chronique (de longue durée) non contrôlée par des médicaments, une fibrose hépatique significative ou une cirrhose du foie (lésions du foie).

Pourquoi Roctavian est-il autorisé dans l'UE?

Les patients atteints d'hémophilie A ont besoin d'un traitement à vie avec une ou plusieurs injections par semaine ou par mois pour remplacer ou imiter le facteur VIII manquant. Roctavian s'est avéré efficace pour augmenter le taux d'activité du facteur VIII chez les patients atteints d'hémophilie A, et cette augmentation se poursuit depuis au moins deux ans. L'Agence européenne des médicaments a également estimé que, dans la mesure où Roctavian est administré en une seule perfusion, cela réduirait la charge de traitement des patients atteints d'hémophilie A sévère pendant au moins deux ans. Bien que les données de sécurité à long terme soient limitées, le profil de sécurité a été jugé acceptable.

Une «autorisation conditionnelle» a été délivrée pour Roctavian. Cela signifie que l'Agence a estimé que les bénéfices de Roctavian sont supérieurs à ses risques, mais que la société devra fournir des preuves supplémentaires après l'autorisation.

L'autorisation conditionnelle est accordée sur la base de données moins complètes que celles qui sont normalement requises. Elle est accordée pour les médicaments qui répondent à un besoin médical non satisfait en matière de traitement de maladies graves et lorsque les bénéfices de la mise à disposition anticipée de ces médicaments sont supérieurs aux risques associés à leur utilisation, dans l'attente de preuves supplémentaires. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible jusqu'à ce que les données deviennent exhaustives et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Roctavian?

Une autorisation conditionnelle ayant été délivrée pour Roctavian, la société qui commercialise Roctavian fournira des données supplémentaires provenant d'études en cours sur la sécurité et l'efficacité à long terme du médicament chez les patients atteints d'hémophilie A sévère et réalisera une étude sur le moment le plus approprié pour commencer un traitement par corticostéroïdes chez ces patients, afin d'éviter des problèmes de foie. La société fournira également des données provenant d'un registre de patients traités par Roctavian afin d'étudier sa sécurité et son efficacité à long terme.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Roctavian?

La société qui commercialise Roctavian fournira aux patients et aux professionnels de santé du matériel éducatif expliquant les bénéfices, les risques et les incertitudes concernant les effets à long terme du médicament. Les patients recevront également une carte patient pour informer les professionnels de santé qu'ils ont reçu Roctavian pour traiter l'hémophilie A.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Roctavian ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Roctavian sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Roctavian sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Roctavian:

Des informations sur Roctavian sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.