



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672433/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoktokogen roksaparvovek*)

Pregled informacija o lijeku Roctavian i zašto je odobren u EU-u

Što je Roctavian i za što se koristi?

Roctavian je lijek za liječenje teške hemofilije tipa A, nasljednog poremećaja krvarenja uzrokovanog nedostatkom proteina za zgrušavanje krvi poznatog kao faktor VIII. Primjenjuje se u odraslih osoba koje nemaju inhibitore (protutijela) na faktor VIII i koje nemaju protutijela na adeno-pridruženi virus serotipa 5 (AAV5).

Roctavian sadrži djelatnu tvar valoktokogen roksaparvovek te i vrsta je lijeka za naprednu terapiju koji se naziva „lijekom za gensku terapiju“. Riječ je o vrsti lijeka koja djeluje unosom gena u tijelo.

Hemofilija tipa A rijetka je bolest, a lijek Roctavian dobio je status „lijeka za rijetku bolest“

21. ožujka 2016. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

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

Kako se Roctavian primjenjuje?

Lijek se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje je potrebno započeti pod nadzorom liječnika s iskustvom u liječenju hemofilije ili poremećajâ krvarenja. Lijek treba primjenjivati u ustanovi koja je opremljena za brzo liječenje reakcija povezanih s infuzijom.

Roctavian se daje kao jedna infuzija u venu (ukapavanje) tijekom nekoliko sati. Doza lijeka ovisi o tjelesnoj težini bolesnika. Bolesnicima se mogu dati i drugi lijekovi za smanjenje rizika od reakcija povezanih s infuzijom.

Za više informacija o primjeni lijeka Roctavian pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Roctavian?

Roctavian se sastoji od virusa (AAV5) koji je modificiran na način da sadržava gen za faktor VIII koji nedostaje bolesnicima s hemofilijom tipa A. Nakon što bolesnik primi lijek, očekuje se da će virus prenijeti gen za faktor VIII u stanice jetre, čime će se omogućiti da tijekom dugog razdoblja proizvode faktor VIII koji nedostaje. Očekuje se da će se time kontrolirati poremećaj krvarenja.

Vrsta virusa koja je upotrijebljena u ovom lijeku (adeno-pridruženi virus) ne uzrokuje bolest u ljudi.

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



Koje su koristi od lijeka Roctavian utvrđene u ispitivanjima?

U glavnom ispitivanju koje je uključivalo 134 odrasla muška bolesnika s teškom hemofilijom tipa A utvrđeno je da je lijek Roctavian učinkovit u povećanju razine aktivnosti faktora VIII te da se to povećanje održalo najmanje dvije godine. 104 tjedna nakon primanja jedne doze lijeka 75,4 % bolesnika imalo je prosječnu razinu aktivnosti faktora VIII od najmanje 5 međunarodnih jedinica po decilitru (IU/dl), što je mjera blage hemofilije. Osim toga, godišnji broj epizoda krvarenja smanjen je za 85,5 %, a potreba za dodatnom nadomjesnom terapijom faktorom VIII smanjila se za 97,5 %.

Koji su rizici povezani s lijekom Roctavian?

Najčešće su nuspojave lijeka Roctavian (koje se mogu javiti u više od 3 na 10 osoba) povišene razine jetrenih enzima alanin-aminotransferaze i aspartat-aminotransferaze (znakovi mogućih problema s jetrom), povišene razine enzima laktat-dehidrogenaze (znak mogućeg oštećenja tkiva), mučnina (slabost) i glavobolja. Potpuni popis zabilježenih nuspojava povezanih s lijekom Roctavian potražite u uputi o lijeku.

Roctavian se ne smije davati osobama koje su preosjetljive (alergične) na bilo koji od njegovih sastojaka ili koje imaju aktivnu ili kroničnu (dugotrajnu) infekciju koja se ne može kontrolirati lijekovima ili ozbiljnu fibrozu jetre ili cirozu jetre (ožiljci na jetri).

Zašto je lijek Roctavian odobren u EU-u?

Bolesnicima s hemofilijom tipa A potrebno je cjeloživotno liječenje jednom ili više injekcija tjedno ili mjesečno kako bi se zamijenio ili oponašao faktor VIII koji nedostaje. Lijek Roctavian pokazao se učinkovitim u povećanju razine aktivnosti faktora VIII u bolesnika s hemofilijom tipa A, a to se povećanje zadržava najmanje dvije godine. Europska agencija za lijekove također je smatrala da bi se, s obzirom na to da se Roctavian primjenjuje kao jedna infuzija, smanjilo opterećenje u liječenju bolesnika s teškom hemofilijom tipa A tijekom najmanje dvije godine. Iako su podatci o dugoročnoj sigurnosti ograničeni, smatra se da je sigurnosni profil prihvatljiv.

Za lijek Roctavian izdano je „uvjetno odobrenje“. To znači da je Agencija zaključila da koristi od lijeka Roctavian nadmašuju s njim povezane rizike, ali da će tvrtka morati dostaviti dodatne dokaze nakon izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Uvjetno odobrenje izdaje se na temelju manje sveobuhvatnih podataka nego što je to obično potrebno. Dodjeljuje se za lijekove koji ispunjavaju nezadovoljenu medicinsku potrebu za liječenjem ozbiljnih bolesti i kada koristi od njihova ranijeg stavljanja na raspolaganje nadmašuju sve rizike povezane s primjenom lijekova dok se čekaju dodatni dokazi. Europska agencija za lijekove svake će godine procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne dok podatci ne postanu sveobuhvatni te se ovaj pregled informacija po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Roctavian?

Budući da je lijek Roctavian dobio uvjetno odobrenje, tvrtka koja stavlja lijek Roctavian u promet dostavit će dodatne podatke iz ispitivanja koja su u tijeku o dugoročnoj sigurnosti i učinkovitosti lijeka u bolesnika s teškom hemofilijom tipa A te će provesti ispitivanje o tome kada je najbolje započeti liječenje kortikosteroidima u tih bolesnika kako bi se izbjegli problemi s jetrom. Tvrtka će dostaviti i podatke iz registra bolesnika liječenih lijekom Roctavian radi ispitivanja njegove dugoročne sigurnosti i učinkovitosti.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Roctavian?

Tvrtka koja stavlja lijek Roctavian u promet dostavit će bolesnicima i zdravstvenim radnicima edukacijske materijale u kojima se objašnjavaju koristi, rizici i nesigurnosti u pogledu dugoročnih učinaka lijeka. Bolesnici će također dobiti karticu za bolesnike kako bi mogli obavijestiti zdravstvene radnike o tome da su primili lijek Roctavian za liječenje hemofilije tipa A.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Roctavian nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Roctavian kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave lijeka Roctavian pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Roctavian

Više informacija o lijeku Roctavian dostupno je na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.