



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672435/2022  
EMA/H/C/005830

## Roctavian (*valoctocogene roxaparvovec*)

Sintesi di Roctavian e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

### Cos'è Roctavian e per cosa si usa?

Roctavian è un medicinale utilizzato per il trattamento dell'emofilia A grave, un disturbo emorragico ereditario causato dalla mancanza di una proteina di coagulazione denominata fattore VIII. È usato negli adulti che non hanno inibitori del fattore VIII (anticorpi) e che non hanno anticorpi contro il sierotipo 5 del virus adeno-associato (AAV5).

Roctavian contiene il principio attivo valoctocogene roxaparvovec ed è un tipo di medicinale per terapia avanzata denominato "prodotto di terapia genica", ossia un tipo di medicinale che agisce introducendo geni nell'organismo.

L'emofilia A è "rara" e Roctavian è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 21 marzo 2016. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622).

### Come si usa Roctavian?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere iniziata sotto la supervisione di un medico esperto nel trattamento dell'emofilia o dei disturbi emorragici. Il medicinale deve essere somministrato in una struttura attrezzata per trattare tempestivamente le reazioni correlate all'infusione.

Roctavian è somministrato con una singola infusione (flebo) in vena nel corso di un certo numero di ore. La dose dipende dal peso corporeo del paziente. Ai pazienti possono essere somministrati altri medicinali per ridurre il rischio di reazioni correlate all'infusione.

Per maggiori informazioni sull'uso di Roctavian, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

### Come agisce Roctavian?

Roctavian è costituito da un virus (AAV5) che è stato modificato per contenere il gene del fattore VIII, che manca nei pazienti affetti da emofilia A. Dopo la somministrazione al paziente, il virus dovrebbe trasportare il gene del fattore VIII nelle cellule epatiche, consentendo loro di produrre il fattore VIII mancante per un lungo periodo. Ciò dovrebbe controllare il disturbo emorragico.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Il tipo di virus utilizzato nel medicinale (virus adeno-associato) non provoca malattie nell'uomo.

## **Quali benefici di Roctavian sono stati evidenziati negli studi?**

Uno studio principale condotto su 134 pazienti adulti di sesso maschile affetti da emofilia A grave ha riscontrato che Roctavian era efficace nell'aumentare il livello di attività del fattore VIII e che tale aumento si era protratto per almeno 2 anni. A distanza di 104 settimane dalla somministrazione di una dose singola del medicinale, il 75,4 % dei pazienti aveva un livello medio di attività del fattore VIII di almeno 5 unità internazionali per decilitro (UI/dL), un indicatore che corrisponde a una forma lieve di emofilia. Inoltre, il numero annuo di episodi emorragici è diminuito dell'85,5% e la necessità di un ulteriore trattamento sostitutivo del fattore VIII è diminuita del 97,5%.

## **Quali sono i rischi associati a Roctavian?**

Gli effetti indesiderati più comuni di Roctavian (che possono riguardare più di 3 persone su 10) sono aumento dei livelli degli enzimi epatici alanina aminotransferasi e aspartato aminotransferasi (segni di possibili problemi epatici), aumento dei livelli dell'enzima lattato deidrogenasi (segni di possibili danni ai tessuti), nausea e cefalea. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Roctavian, vedere il foglio illustrativo.

Roctavian non deve essere somministrato a persone ipersensibili (allergiche) a uno qualsiasi dei suoi ingredienti o che presentano un'infezione attiva o cronica (a lungo termine) non controllata da medicinali o una fibrosi epatica significativa, o cirrosi epatica (cicatizzazione del fegato).

## **Perché Roctavian è autorizzato nell'UE?**

I pazienti affetti da emofilia A necessitano di un trattamento permanente con una o più iniezioni a settimana o al mese per sostituire o surrogare il fattore VIII mancante. Roctavian ha dimostrato di essere efficace nell'aumentare il livello di attività del fattore VIII nei pazienti affetti da emofilia A e tale aumento si è protratto per almeno 2 anni. L'Agenzia europea per i medicinali ha inoltre ritenuto che, essendo somministrato come singola infusione, Roctavian avrebbe ridotto l'onere terapeutico per i pazienti con emofilia A grave per almeno 2 anni. Sebbene i dati sulla sicurezza a lungo termine siano limitati, il profilo di sicurezza è stato considerato accettabile.

Roctavian ha ottenuto una "autorizzazione subordinata a condizioni". Questo significa che l'Agenzia ha deciso che i benefici di Roctavian sono superiori ai suoi rischi, ma la ditta dovrà fornire ulteriori dati dopo l'autorizzazione.

L'autorizzazione subordinata a condizioni è concessa sulla base di dati meno completi di quelli normalmente richiesti. È concessa per medicinali che rispondono a un'esigenza medica non soddisfatta relativa al trattamento di malattie gravi e quando i benefici di una loro disponibilità in tempi più rapidi superano qualsiasi rischio associato all'uso dei medicinali in attesa di ulteriori dati. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili fino a quando i dati non diventeranno completi e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

## **Quali informazioni sono ancora attese per Roctavian?**

Poiché per Roctavian è stata rilasciata un'autorizzazione subordinata a condizioni, la ditta che commercializza Roctavian fornirà dati aggiuntivi provenienti da studi in corso sulla sicurezza e l'efficacia a lungo termine del medicinale in pazienti affetti da emofilia A grave ed effettuerà uno studio inteso a determinare quale sia la tempistica migliore per l'avvio del trattamento con corticosteroidi in

questi pazienti per evitare problemi al fegato. La ditta fornirà anche dati tratti da un registro di pazienti trattati con Roctavian per studiarne la sicurezza e l'efficacia a lungo termine.

### **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Roctavian?**

La ditta che commercializza Roctavian fornirà ai pazienti e agli operatori sanitari materiale informativo che illustra i benefici, i rischi e le incertezze relativi agli effetti a lungo termine del medicinale. I pazienti riceveranno anche una scheda per segnalare agli operatori sanitari di avere ricevuto Roctavian per il trattamento dell'emofilia A.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Roctavian sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Roctavian sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Roctavian sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

### **Altre informazioni su Roctavian**

Ulteriori informazioni su Roctavian sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian).