



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672437/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoktokogenas roksaparvovekas*)

Roctavian apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Roctavian ir kam jis vartojamas?

Roctavian – tai vaistas, kuriuo gydoma sunki hemofilija A – įgimtas kraujavimo sutrikimas, kurį sukelia krešėjimo baltymo, vadinamo VIII veiksnium, stoka. Jis skiriamas suaugusiesiems, kurių organizme nėra VIII veiksnio inhibitorių (antikūnų) ir antikūnų prieš adenoasocijuoto viruso 5 serotipą (AAV5).

Roctavian sudėtyje yra veikliosios medžiagos valoktokogeno roksaparvoveko; tai yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis „genų terapijos vaistas“. Tai vaistai, pernešantys genus į organizmą.

Hemofilija A laikoma reta liga, todėl 2016 m. kovo 21 d. Roctavian buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622

Kaip vartoti Roctavian?

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą; gydymą reikia pradėti prižiūrint gydytojui, turinčiam hemofilijos arba kraujavimo sutrikimų gydymo patirties. Vaistą reikia suleisti įstaigoje, turinčioje įrangą su infuzija susijusioms reakcijoms skubiai malšinti.

Skiriama viena Roctavian infuzija, kuri į veną sulašinama per kelias valandas. Vaisto dozė nustatoma pagal paciento kūno svorį. Siekiant sumažinti su infuzija susijusių reakcijų riziką, pacientams gali būti skiriama kitų vaistų.

Daugiau informacijos apie Roctavian vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Roctavian?

Roctavian gaminamas iš viruso (AAV5), kuris buvo modifikuotas įterpiant VIII veiksnio geną, kurio trūksta hemofilija A sergantiems pacientams. Sulašinus šį virusą, jis turėtų pernešti VIII veiksnio geną į kepenų ląsteles, kad jos galėtų ilgą laiką gaminti trūkstamą VIII veiksnį. Taip tikimasi gydyti kraujavimo sutrikimą.

Šio vaisto sudėtyje naudojamo tipo virusas (adeno-asocijuotas virusas) žmonėms ligos nesukelia.

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



Kokia Roctavian nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 134 sunkia hemofilija A sergantys suaugę vyrai, nustatyta, kad Roctavian veiksmingai padidina VIII veiksnio aktyvumą ir kad šis padidėjimas trunka ne trumpiau kaip 2 metus. Praėjus 104 savaitėms nuo vienkartinės vaisto dozės sulašinimo, 75,4 proc. pacientų vidutinis VIII veiksnio aktyvumo lygis buvo ne mažesnis kaip 5 tarptautiniai vienetai decilitre (TV/dL), o tai yra lengvos formos hemofilijos rodiklis. Be to, metinis kraujavimo epizodų skaičius sumažėjo 85,5 proc., o papildomo VIII veiksnio pakaitinio gydymo poreikis sumažėjo 97,5 proc.

Kokia rizika susijusi su Roctavian vartojimu?

Dažniausias Roctavian šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 3 žmonėms iš 10) yra padidėjęs kepenų fermentų alanino aminotransferazės ir aspartato aminotransferazės kiekis (galimų kepenų veiklos sutrikimų požymiai), padidėjęs fermento laktato dehidrogenazės kiekis (galimo audinių pažeidimo požymis), pykinimas ir galvos skausmas. Išsamų visų Roctavian šalutinio poveikio reiškinių sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Roctavian negalima vartoti esant padidėjusiam jautrumui (alergijai) kuriai nors jo sudedamajai medžiagai arba esant aktyviai ar lėtinei (ilgalaikiai) infekcijai, kurios nepavyksta suvaldyti vaistais, arba sergant sunkia kepenų fibroze ar kepenų ciroze (kepenų surandėjimas).

Kodėl Roctavian buvo registruotas ES?

Hemofilija A sergantiems pacientams reikalingas visą gyvenimą trunkantis gydymas viena arba keliomis injekcijomis per savaitę ar mėnesį, siekiant pakeisti ar imituoti trūkstamą VIII veiksnį. Nustatyta, kad Roctavian veiksmingai didina VIII veiksnio aktyvumą hemofilija A sergančių pacientų organizme, ir toks padidėjimas trunka ne trumpiau kaip 2 metus. Europos vaistų agentūra taip pat laikėsi nuomonės, kad sulašinus Roctavian į veną vieną kartą, ne mažiau kaip 2 metams sumažėtų sunkia hemofilija A sergančių pacientų gydymo našta. Nors ilgalaikių saugumo tyrimų duomenų nėra daug, nuspręsta, kad šio vaisto saugumo charakteristikos yra priimtinos.

Roctavian registracija yra sąlyginė. Tai reiškia, kad Agentūra nusprendė, jog Roctavian nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, bet įregistravusi vaistą, bendrovė turės pateikti papildomų įrodymų.

Sąlyginė registracija suteikiama remiantis mažiau išsamiais duomenimis, nei paprastai reikalaujama. Ji suteikiama vaistams, kurie patenkina nepatenkintą medicininį poreikį gydyti sunkias ligas ir kai vaistų prieinamumo nauda yra didesnė už riziką, siejamą su šių vaistų vartojimu, kol bus gauta daugiau įrodymų. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją, kol duomenys taps išsamūs, ir prireikus atnaujins šią apžvalgą.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Roctavian?

Kadangi Roctavian registracija yra sąlyginė, Roctavian prekiaujanti bendrovė pateiks papildomus šiuo metu dar tebevykdomų vaisto ilgalaikio saugumo ir veiksmingumo gydant sunkia hemofilija A sergančius pacientus tyrimų duomenis ir atliks tyrimą, kada šiems pacientams geriausia pradėti gydymą kortikosteroidais, kad būtų išvengta kepenų veiklos sutrikimų. Bendrovė taip pat pateiks Roctavian gydytų pacientų registro duomenis, kad galėtų ištirti jo ilgalaikį saugumą ir veiksmingumą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Roctavian vartojimą?

Roctavian prekiaujanti bendrovė aprūpins pacientus ir sveikatos priežiūros specialistus mokomąja medžiaga, kurioje bus paaiškinta vaisto nauda, keliama rizika ir neaiškumai dėl ilgalaikio poveikio. Pacientams taip pat bus išduota paciento kortelė, skirta informuoti sveikatos priežiūros specialistus apie tai, kad skirta Roctavian hemofilijai A gydyti.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Roctavian vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Roctavian vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Roctavian šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Roctavian

Daugiau informacijos apie Roctavian rasite Agentūros tinklalapyje adresu : ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.