



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672438/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoktokogēna roksaparvoveks*)

Roctavian pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Roctavian* un kāpēc tās lieto?

Roctavian ir zāles, lai ārstētu smagu A hemofiliju – iedzimtus asiņošanas traucējumus, ko izraisa asins recēšanas proteīna, ko dēvē par VIII faktoru, trūkums. Tās lieto pieaugušajiem, kuriem nav inhibitoru (antiviēlu) pret VIII faktoru un kuriem nav antiēviēlu pret adenoasociētā vīrusa 5. serotipu (AAV5).

Roctavian satur aktīvo vielu valoktokogēna roksaparvoveku un ir uzlabotās terapijas zāļu veids, ko sauc par "gēnu terapijas zālēm". Tas ir zāļu veids, kas darbojas, piegādājot organismam gēnus.

A hemofilija ir reta, un 2016. gada 21. martā *Roctavian* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama šeit: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622.

Kā lieto *Roctavian*?

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzsāk tāda ārsta uzraudzībā, kuram ir pieredze hemofilijas vai asiņošanas traucējumu ārstēšanā. Zāles jāievada iestādē, kas aprīkota tā, lai varētu ātri ārstēt ar infūziju saistītas reakcijas.

Roctavian tiek ievadītas ar vienu infūziju (pa pilienam) vēnā vairāku stundu laikā. Deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas. Pacienti var dot citas zāles, lai mazinātu ar infūziju saistītu reakciju risku.

Papildu informāciju par *Roctavian* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Roctavian* darbojas?

Roctavian ir izgatavotas no vīrusa (AAV5), kas ir modificēts, lai saturētu gēnu VIII faktoram, kura trūkst pacientiem ar A hemofiliju. Paredzams, ka pēc ievadīšanas pacientam vīruss pārnesīs VIII faktora gēnu aknu šūnās, ļaujot tiem ilgu laiku ražot trūkstošo VIII faktoru. Tādā veidā ir paredzēts kontrolēt asiņošanas traucējumus.

Šajās zālēs lietotais vīruss (adenoasociētais vīruss) neizraisa cilvēku saslimšanu.

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



Kādi *Roctavian* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā, kurā piedalījās 134 pieauguši vīrieši ar smagu A hemofiliju, tika konstatēts, ka *Roctavian* efektīvi palielina VIII faktora aktivitāti un ka šis pieaugums saglabājās vismaz 2 gadus. Pēc vienas zāļu devas saņemšanas 75,4 % pacientu vidējais VIII faktora aktivitātes līmenis 104 nedēļas bija vismaz 5 starptautiskās vienības decilitrā (SV/dl), kas ir vieglas hemofilijas rādītājs. Turklāt ikgadējais asiņošanas epizožu skaits samazinājās par 85,5 %, un nepieciešamība pēc papildu VIII faktora aizstājterapijas samazinājās par 97,5 %.

Kāds risks pastāv, lietojot *Roctavian*?

Visbiežākās *Roctavian* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 3 no 10 cilvēkiem) ir paaugstināts aknu enzīmu alanīnaminotransferāzes un aspartātaminotransferāzes līmenis (iespējamu aknu darbības traucējumu pazīmes), paaugstināts enzīma laktātdehidrogenāzes līmenis (iespējama audu bojājuma pazīmes), slikta dūša (nelabums) un galvassāpes. Pilnu visu ziņoto blakusparādību sarakstu, lietojot *Roctavian*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Roctavian nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret kādu šo zāļu sastāvdaļu, kā arī cilvēki ar aktīvu vai hronisku (ilgstošu) infekciju, kuru nekontrolē ar zālēm, nozīmīgu aknu fibrozi vai aknu cirozi (aknu rētošanos).

Kāpēc *Roctavian* ir reģistrētas ES?

Pacientiem ar A hemofiliju ir nepieciešama ārstēšana visu mūžu ar vienu vai vairākām injekcijām nedēļā vai mēnesī, lai aizstātu vai imitētu trūkstošo VIII faktoru. Pierādīts, ka *Roctavian* efektīvi palielina VIII faktora aktivitātes līmeni pacientiem ar A hemofiliju un šis pieaugums saglabājās vismaz 2 gadus. Eiropas Zāļu aģentūra arī uzskatīja, ka, tā kā *Roctavian* tiek ievadītas ar vienu infūziju, tas vismaz divus gadus samazinās ārstēšanas slogu pacientiem ar smagu A hemofiliju. Lai gan ilgtermiņa drošuma dati ir ierobežoti, drošuma profils tika uzskatīts par pieņemamu.

Roctavian ir reģistrētas "ar nosacījumiem". Tas nozīmē, ka aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Roctavian*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, bet uzņēmumam pēc reģistrācijas būs jāiesniedz papildu pierādījumi.

Reģistrācija ar nosacījumiem tiek piešķirta, pamatojoties uz mazāk visaptverošiem datiem, nekā parasti tiek prasīts. Tā tiek piešķirta zālēm, kas atbilst neapmierinātām medicīniskām vajadzībām ārstēt nopietnas slimības, un, gaidot papildu pierādījumus, ieguvumi no to pieejamības ir lielāki par riskiem, kas saistīti ar zāļu lietošanu. Aģentūra ik gadu pārbaudīs visu pieejamo jauno informāciju, līdz dati kļūst visaptveroši, un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Roctavian* vēl ir sagaidāma?

Tā kā *Roctavian* ir reģistrētas ar nosacījumiem, uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Roctavian*, iesniegs papildu datus no pašlaik notiekošajiem pētījumiem par zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti pacientiem ar smagu A hemofiliju un veiks pētījumu par to, kad vislabāk sākt kortikosteroīdu terapiju šiem pacientiem, lai izvairītos no aknu darbības traucējumiem. Uzņēmums arī iesniegs datus no ar *Roctavian* ārstēto pacientu reģistra, lai pētītu zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Roctavian* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Roctavian*, pacientiem un veselības aprūpes speciālistiem nodrošinās izglītojošus materiālus, kuros izskaidrotas zāļu ilgtermiņa iedarbības ieguvumi, riski un nesekmīgums.

Pacientiem arī izsniegs pacienta karti, lai informētu veselības aprūpes speciālistus, ka pacienti ir saņēmuši *Roctavian* A hemofilijas ārstēšanai.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Roctavian* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Roctavian* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Roctavian* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Roctavian*

Sīkāka informācija par *Roctavian* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.