



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672440/2022  
EMA/H/C/005830

## Roctavian (*valoctocogene roxaparvovec*)

Een overzicht van Roctavian en waarom het is geregistreerd in de EU

### Wat is Roctavian en wanneer wordt het voorgeschreven?

Roctavian is een geneesmiddel voor de behandeling van ernstige hemofilie A, een erfelijke bloedingsstoornis die wordt veroorzaakt door een gebrek aan factor VIII, een stollingseiwit. Het wordt gebruikt bij volwassenen die geen remmers (antilichamen) tegen factor VIII hebben en die geen antilichamen tegen adeno-geassocieerd virus serotype 5 (AAV5) hebben.

Roctavian bevat de werkzame stof valoctocogene roxaparvovec en is een geavanceerd geneesmiddel voor gentherapie. Dit type geneesmiddel werkt door genen aan het lichaam toe te dienen.

Hemofilie A is zeldzaam en Roctavian werd op 21 maart 2016 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622).

### Hoe wordt Roctavian gebruikt?

Roctavian is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van hemofilie of andere bloedingsstoornissen. Het geneesmiddel moet worden toegediend in een medische instelling die is uitgerust om infusiegerelateerde reacties onmiddellijk te behandelen.

Roctavian wordt toegediend als één enkele infusie (indruppeling) in een ader gedurende een aantal uren. De dosis is afhankelijk van het lichaamsgewicht van de patiënt. Patiënten kunnen andere geneesmiddelen toegediend krijgen om het risico op infusiegerelateerde reacties te verminderen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Roctavian.

### Hoe werkt Roctavian?

Roctavian wordt gemaakt van een virus (AAV5) dat zodanig is gemodificeerd dat het het gen voor factor VIII bevat, dat ontbreekt bij patiënten met hemofilie A. Na toediening aan de patiënt zal het virus het factor VIII-gen naar verwachting naar de levercellen transporteren, die de ontbrekende factor VIII vervolgens gedurende een lange periode kunnen aanmaken. Naar verwachting zal dit de bloedingsstoornis onder controle houden.

---

**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



Het virus dat in dit geneesmiddel wordt gebruikt (adeno-geassocieerd virus), veroorzaakt bij de mens geen ziekte.

## **Welke voordelen bleek Roctavian tijdens de studies te hebben?**

Uit een hoofdstudie onder 134 volwassen mannelijke patiënten met ernstige hemofilie A bleek dat Roctavian werkzaam was bij het verhogen van de factor VIII-activiteit en dat deze toename gedurende ten minste twee jaar aanhield. 104 weken na toediening van een enkelvoudige dosis van het geneesmiddel had 75,4 % van de patiënten een gemiddeld factor VIII-activiteitsniveau van ten minste 5 internationale eenheden per deciliter (IE/dl), wat een maatstaf is voor lichte hemofilie. Bovendien nam het jaarlijkse aantal bloedingsepisoden met 85,5 % af en de noodzaak van aanvullende factor VIII-vervangings therapie daalde met 97,5 %.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Roctavian in?**

De meest voorkomende bijwerkingen van Roctavian (die bij meer dan 3 op de 10 personen kunnen optreden) zijn verhoogde concentraties van de leverenzymen alanine-aminotransferase en aspartaataminotransferase (tekenen van mogelijke leverproblemen), verhoogde concentraties van het enzym lactaatdehydrogenase (tekenen van mogelijke weefselschade), misselijkheid en hoofdpijn. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van Roctavian.

Roctavian mag niet worden toegediend aan mensen die overgevoelig (allergisch) zijn voor een van de bestanddelen van het middel of die een actieve dan wel chronische (langdurige) infectie hebben die niet onder controle kan worden gehouden met geneesmiddelen, of die significante leverfibrose of levercirrose (littekenvorming in de lever) hebben.

## **Waarom is Roctavian geregistreerd in de EU?**

Patiënten met hemofilie A moeten hun leven lang worden behandeld met één of meer injecties per week of per maand om de ontbrekende factor VIII te vervangen dan wel na te bootsen. Roctavian is werkzaam gebleken bij het verhogen van de factor VIII-activiteit bij patiënten met hemofilie A; deze verhoogde activiteit houdt ten minste twee jaar aan. Het Europees Geneesmiddelenbureau was ook van mening dat Roctavian, aangezien het als één enkele infusie wordt toegediend, de behandellast voor patiënten met ernstige hemofilie A gedurende ten minste twee jaar vermindert. Hoewel er slechts beperkte gegevens over de veiligheid op lange termijn beschikbaar zijn, werd het veiligheidsprofiel aanvaardbaar geacht.

Aan Roctavian is 'voorwaardelijke registratie' verleend. Dit betekent dat het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Roctavian groter zijn dan de risico's, maar dat de firma aanvullend bewijs moet overleggen na goedkeuring.

Voorwaardelijke registratie wordt verleend op basis van minder volledige gegevens dan gewoonlijk. Voorwaardelijk registratie wordt verleend voor geneesmiddelen die voldoen aan een onvervulde medische behoefte om ernstige ziekten te behandelen en wanneer de voordelen van het in een vroeger stadium verkrijgbaar zijn groter zijn dan de risico's in verband met het gebruik van de geneesmiddelen in afwachting van verder bewijs. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen totdat de gegevens volledig zijn, en zal dit overzicht zo nodig laten bijwerken.

## **Welke informatie wordt nog verwacht voor Roctavian?**

Aangezien aan Roctavian voorwaardelijke registratie is verleend, zal het bedrijf dat Roctavian in de handel brengt aanvullende gegevens overleggen van lopende studies naar de veiligheid en

werkzaamheid van het geneesmiddel bij patiënten met ernstige hemofilie A en zal het onderzoeken wanneer de behandeling met corticosteroïden bij deze patiënten het best kan worden gestart om leverproblemen te voorkomen. Het bedrijf zal ook gegevens overleggen van een register van met Roctavian behandelde patiënten om de veiligheid en werkzaamheid ervan op lange termijn te onderzoeken.

### **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Roctavian te waarborgen?**

Het bedrijf dat Roctavian in de handel brengt verstrekt patiënten en professionele zorgverleners voorlichtingsmateriaal met uitleg over de voordelen, risico's en onzekerheden over de langetermijneffecten van het geneesmiddel. Patiënten krijgen ook een patiëntenkaart om professionele zorgverleners erop te wijzen dat zij Roctavian hebben gekregen voor de behandeling van hemofilie A.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Roctavian zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Roctavian continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Roctavian worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

### **Overige informatie over Roctavian**

Meer informatie over Roctavian is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian).