



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672443/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoctocogene roxaparvovec*)

Prezentare generală a Roctavian și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Roctavian și pentru ce se utilizează?

Roctavian este un medicament pentru tratarea hemofiliei A severe, afecțiune hemoragică ereditară cauzată de lipsa unei proteine de coagulare numite factor VIII. Se utilizează la adulți care nu au inhibitori (anticorpi) împotriva factorului VIII și care nu au anticorpi împotriva virusului adeno-asociat de serotip 5 (VAA5).

Roctavian conține substanța activă valoctocogene roxaparvovec și este un tip de medicament pentru terapie avansată numit „medicament pentru terapie genică”. Este un tip de medicament care acționează prin eliberarea de gene în organism.

Hemofilia A este rară, iar Roctavian a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 21 martie 2016. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622

Cum se utilizează Roctavian?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat sub supravegherea unui medic cu experiență în tratamentul hemofiliei sau al tulburărilor hemoragice. Medicamentul trebuie administrat într-o unitate echipată pentru tratarea promptă a reacțiilor asociate perfuziei.

Roctavian se administrează sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă) unică, timp de mai multe ore. Doza depinde de greutatea corporală a pacientului. Pentru a reduce riscul de reacții declanșate de perfuzie, pacienților li se pot administra alte medicamente.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Roctavian, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Roctavian?

Roctavian este produs dintr-un virus (VAA5) modificat pentru a conține gena pentru factorul VIII, care lipsește la pacienții cu hemofilia A. După ce se administrează pacientului, virusul ar trebui să transporte gena factorului VIII în celulele hepatice, permițându-le să producă factorul VIII lipsă pe o perioadă lungă. Acest lucru ar trebui să țină sub control afecțiunea hemoragică.

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



Tipul de virus utilizat în acest medicament (virusul adeno-asociat) nu cauzează boli la om.

Ce beneficii a prezentat Roctavian pe parcursul studiilor?

Un studiu principal care a cuprins 134 de pacienți adulți de sex masculin cu hemofilie A severă a constatat că Roctavian este eficace în creșterea nivelului de activitate a factorului VIII și că această creștere se menține cel puțin 2 ani. După 104 săptămâni de la administrarea unei doze unice de medicament, 75,4 % din pacienți aveau un nivel mediu de activitate a factorului VIII de cel puțin 5 unități internaționale pe decilitru (UI/dl), care este o măsură a hemofiliei ușoare. În plus, numărul anual al episoadelor hemoragice a scăzut cu 85,5 %, iar necesitatea unui tratament de substituție suplimentar pentru factorul VIII a scăzut cu 97,5 %.

Care sunt riscurile asociate cu Roctavian?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Roctavian (care pot afecta mai mult de 3 persoane din 10) sunt valori crescute ale enzimelor hepatice alanin-aminotransferază și aspartat-aminotransferază (semne de posibile probleme hepatice), valori crescute ale enzimei lactat-dehidrogenază (semn de posibile leziuni tisulare), greață și dureri de cap. Pentru lista completă a reacțiilor adverse raportate asociate cu Roctavian, citiți prospectul.

Roctavian este contraindicat la persoanele care sunt hipersensibile (alergice) la oricare dintre ingredientele sale sau care au o infecție activă sau cronică (de lungă durată) care nu este controlată de medicamente, fibroză semnificativă a ficatului sau ciroză hepatică (sclerozarea ficatului).

De ce a fost autorizat Roctavian în UE?

Pacienții cu hemofilie A necesită tratament pe tot parcursul vieții cu una sau mai multe injecții pe săptămână sau pe lună pentru a înlocui sau a imita factorul VIII lipsă. Roctavian s-a dovedit eficace în creșterea nivelului de activitate a factorului VIII la pacienți cu hemofilie A, iar această creștere se menține cel puțin 2 ani. De asemenea, Agenția Europeană pentru Medicamente a considerat că, întrucât Roctavian se administrează în perfuzie unică, acest medicament ar reduce sarcina de tratament pentru pacienții cu hemofilie A severă timp de cel puțin 2 ani. Deși datele de siguranță pe termen lung sunt limitate, profilul de siguranță a fost considerat acceptabil.

Roctavian a primit „autorizare condiționată”. Aceasta înseamnă că agenția a hotărât că beneficiile Roctavian sunt mai mari decât riscurile asociate, dar compania va trebui să furnizeze dovezi suplimentare după autorizare.

Autorizația condiționată se acordă pe baza unor date mai puțin cuprinzătoare decât cele solicitate în mod normal. Se acordă medicamentelor care îndeplinesc o necesitate medicală nesatisfăcută de tratare a bolilor grave și dacă beneficiile datorate disponibilității lor timpurii depășesc riscurile asociate cu utilizarea medicamentelor în timp ce se așteaptă dovezi suplimentare. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute până când datele devin complete, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Roctavian?

Având în vedere că Roctavian a primit autorizație condiționată, compania care comercializează Roctavian va furniza date suplimentare din studiile în curs de desfășurare privind siguranța și eficacitatea pe termen lung a medicamentului la pacienții cu hemofilie A severă și va efectua un studiu privind momentul cel mai bun de începere a tratamentului cu corticosteroizi la acești pacienți, pentru a

evita problemele hepatice. De asemenea, compania va furniza date dintr-un registru al pacienților tratați cu Roctavian pentru a studia siguranța și eficacitatea sa pe termen lung.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Roctavian?

Compania care comercializează Roctavian va furniza pacienților și personalului medical materiale educaționale care să explice beneficiile, riscurile și incertitudinile legate de efectele pe termen lung ale medicamentului. Pacienții vor primi, de asemenea, un card pentru pacienți pentru a informa personalul medical că li s-a administrat Roctavian pentru tratamentul hemofiliei A.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Roctavian, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Roctavian sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Roctavian sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Roctavian

Informații suplimentare cu privire la Roctavian sunt disponibile pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.