



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672445/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoktokogen roksaparvovek*)

Pregled zdravila Roctavian in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Roctavian in za kaj se uporablja?

Roctavian je zdravilo za zdravljenje hude hemofilije A, tj. prirojene motnje strjevanja krvi zaradi pomanjkanja koagulacijske beljakovine, znane kot faktor VIII. Uporablja se pri odraslih, ki nimajo zaviralcev (protiteles) faktorja VIII in nimajo protiteles proti serotipu 5 z adenovirusi povezanih virusov (AAV5).

Zdravilo Roctavian vsebuje učinkovino valoktokogen roksaparvovek in je vrsta zdravila za napredno zdravljenje, imenovano „zdravilo za gensko zdravljenje“. Gre za skupino zdravil, ki delujejo tako, da prenesejo gene v telo.

Hemofilija A je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Roctavian 21. marca 2016 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622

Kako se zdravilo Roctavian uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje z njim pa se sme uvesti samo pod nadzorom zdravnika z izkušnjami z zdravljenjem hemofilije ali motenj strjevanja krvi. Zdravilo je treba dajati v prostoru, ki je opremljen za hitro obravnavo reakcij, povezanih z infundiranjem.

Zdravilo Roctavian se daje kot enkratna (kapalna) infuzija v veno v trajanju več ur. Odmerek je odvisen od bolnikove telesne mase. Bolniki lahko za zmanjšanje tveganja za pojav reakcij, povezanih z infundiranjem, prejmejo tudi druga zdravila.

Za več informacij glede uporabe zdravila Roctavian glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Roctavian deluje?

Zdravilo Roctavian je izdelano iz virusa (AAV5), ki je bil spremenjen tako, da vsebuje gen za faktor VIII, ki ga pri bolnikih s hemofilijo A primanjkuje. Ko bolnik prejme zdravilo, se pričakuje, da bo virus prenesel gen za faktor VIII v jetrne celice in jim tako omogočil dolgotrajno tvorjenje manjkajočega faktorja VIII. To naj bi nadzorovalo motnjo strjevanja krvi.

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



Vrsta virusa, uporabljenega v tem zdravilu (z adenovirusi povezanih virusov), ne povzroča bolezni pri ljudeh.

Kakšne koristi zdravila Roctavian so se pokazale v študijah?

V glavni študiji, v katero je bilo vključenih 134 odraslih moških bolnikov s hudo hemofilijo A, je bilo ugotovljeno, da je bilo zdravilo Roctavian učinkovito pri zviševanju ravni aktivnosti faktorja VIII in da se je to povečanje ohranilo vsaj dve leti. 104 tedne po prejemu enkratnega odmerka zdravila je imelo 75,4 % bolnikov povprečno raven aktivnosti faktorja VIII vsaj 5 mednarodnih enot na deciliter (i.e./dL), kar je merilo za blago hemofilijo. Poleg tega se je letno število epizod krvavitev zmanjšalo za 85,5 %, potreba po dodatnem nadomestnem zdravljenju s faktorjem VIII pa za 97,5 %.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Roctavian?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Roctavian (ki se lahko pojavijo pri več kot 3 od 10 bolnikov) so zvišane ravni jetrnih encimov alanin-aminotransferaze in aspartat-aminotransferaze (znaki morebitnih težav z jetri), povišane ravni encima laktat-dehidrogenaza (znak morebitnih poškodb tkiva), navzeja (siljenje na bruhanje) in glavobol. Za celoten seznam neželenih učinkov zdravila Roctavian glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Roctavian se ne sme dajati osebam, ki so preobčutljive za (alergične na) katero koli sestavino zdravila ali ki imajo aktivno ali kronično (dolgotrajno) okužbo, ki ni nadzorovana z zdravili, ali resno fibrozo jeter ali cirozo jeter (brazgotinjenje jeter).

Zakaj je bilo zdravilo Roctavian odobreno v EU?

Bolniki s hemofilijo A potrebujejo dosmrtno zdravljenje z eno ali več injekcijami na teden ali mesec, da nadomestijo ali posnemajo manjkajoči faktor VIII. Zdravilo Roctavian se je izkazalo za učinkovito pri povečevanju ravni aktivnosti faktorja VIII pri bolnikih s hemofilijo A, saj se to povečanje ohrani vsaj dve leti. Evropska agencija za zdravila je prav tako menila, da bi zdravilo Roctavian, ki se daje z enkratnim infundiranjem, zmanjšalo breme zdravljenja pri bolnikih s hudo hemofilijo A za vsaj dve leti. Čeprav so podatki o dolgoročni varnosti omejeni, je bil varnostni profil ocenjen kot sprejemljiv.

Zdravilo Roctavian je pridobilo „pogojno dovoljenje za promet“. To pomeni, da je agencija zaključila, da so koristi zdravila Roctavian večje od z njim povezanih tveganj, vendar bo moralo podjetje po pridobitvi dovoljenja za promet predložiti dodatne dokaze.

Pogojno dovoljenje za promet z zdravilom se izda na podlagi manj izčrpnih podatkov, kot je običajno potrebno. Izda se za zdravila, ki izpolnjujejo neizpolnjeno zdravstveno potrebo po zdravljenju resnih bolezni, in kadar koristi prejšnje razpoložljivosti zdravil odtehtajo tveganja, povezana z uporabo zdravil, medtem ko se čaka na dodatne dokaze. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, dokler podatki ne bodo popolni. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Roctavian še pričakujemo?

Ker je zdravilo Roctavian pridobilo pogojno dovoljenje za promet, bo podjetje, ki ga trži, zagotovilo dodatne podatke iz potekajočih študij o dolgoročni varnosti in učinkovitosti zdravila pri bolnikih s hudo hemofilijo A in izvedlo študijo o tem, kdaj je najbolje začeti zdravljenje s kortikosteroidi pri teh bolnikih, da se preprečijo težave z jetri. Podjetje bo prav tako zagotovilo podatke iz registra bolnikov, zdravljenih z zdravilom Roctavian, za študijo njegove dolgoročne varnosti in učinkovitosti.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Roctavian?

Podjetje, ki trži zdravilo Roctavian, bo bolnikom in zdravstvenim delavcem priskrbelo izobraževalno gradivo, v katerem bodo pojasnjene koristi, tveganja in negotovosti glede dolgoročnih učinkov zdravila. Bolniki bodo prejeli tudi kartico za bolnike, s katero bodo zdravstveni delavci obveščeni, da so prejeli zdravilo Roctavian za zdravljenje hemofilije A.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Roctavian upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Roctavian stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Roctavian, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Roctavian

Nadaljnje informacije za zdravilo Roctavian so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.