



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672423/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoktokogen-roxaparvovek*)

Sammanfattning av Roctavian och varför det är godkänt inom EU

Vad är Roctavian och vad används det för?

Roctavian är ett läkemedel för behandling av svår hemofili A, en ärftlig blödningssjukdom som beror på brist på ett koagulationsprotein som kallas faktor VIII. Det ges till vuxna som inte har hämmare (antikroppar) mot faktor VIII och som inte har några antikroppar mot adenoassocierad virusserotyp 5 (AAV5).

Roctavian innehåller den aktiva substansen valoktokogen-roxaparvovek och är en typ av läkemedel för avancerad terapi som kallas "genterapiprodukt". Det är en typ av läkemedel som verkar genom att gener förs in i kroppen.

Hemofili A är sällsynt och Roctavian klassificerades som särlläkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 21 mars 2016. Mer information om klassificeringen som särlläkemedel finns här ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622.

Hur används Roctavian?

Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska inledas under övervakning av läkare med erfarenhet av att behandla hemofili eller blödningssjukdomar. Läkemedlet ska ges på en inrättning som är utrustad för att snabbt behandla infusionsrelaterade reaktioner.

Roctavian ges som en engångsinfusion (dropp) i en ven under ett antal timmar. Dosen beror på patientens kroppsvikt. Patienterna kan få andra läkemedel för att minska risken för infusionsrelaterade reaktioner.

För mer information om hur du använder Roctavian, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Roctavian?

Roctavian framställs av ett virus (AAV5) som har modifierats för att innehålla genen för faktor VIII, som saknas hos patienter med hemofili A. Efter att ha getts till patienten förväntas viruset föra över faktor VIII-genen till levercellerna så att de under lång tid kan producera den faktor VIII som saknas. Detta förväntas kontrollera blödningssjukdomen.

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



Den typ av virus som används i läkemedlet (adenoassocierat virus) orsakar inte sjukdom hos människor.

Vilka fördelar med Roctavian har visats i studierna?

I en huvudstudie på 134 vuxna manliga patienter med svår hemofili A konstaterades att Roctavian var effektivt för att öka faktor VIII-aktivitetsnivån och att denna ökning kvarstod i minst 2 år. När det gått 104 veckor efter att patienterna fått en enkeldos av läkemedlet hade 75,4 procent en genomsnittlig faktor VIII-aktivitetsnivå på minst 5 internationella enheter per deciliter (IE/dl), vilket är ett mått på lindrig hemofili. Dessutom minskade antalet blödningsepisoder per år med 85,5 procent och behovet av ytterligare substitutionsterapi med faktor VIII minskade med 97,5 procent.

Vilka är riskerna med Roctavian?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Roctavian (kan förekomma hos fler än 3 av 10 användare) är förhöjda halter av leverenzymerna alaninaminotransferas och aspartataminotransferas (tecken på möjliga leverproblem), förhöjda halter av enzymet laktatdehydrogenas (tecken på möjlig vävnadsskada), illamående och huvudvärk. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Roctavian finns i bipacksedeln.

Roctavian får inte ges till personer som är överkänsliga (allergiska) mot något innehållsämne, eller som har en aktiv eller kronisk (långvarig) infektion som inte kontrolleras av läkemedel eller signifikant leverfibros eller levercirros (ärrbildning i levern).

Varför är Roctavian godkänt i EU?

Patienter med hemofili A behöver livslång behandling med en eller flera injektioner per vecka eller månad för att ersätta eller imitera den faktor VIII som saknas. Roctavian har visat sig vara effektivt när det gäller att öka faktor VIII-aktivitetsnivån hos patienter med hemofili A och denna ökning håller i sig i minst två år. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann också att läkemedlet, eftersom Roctavian ges som en enda infusion, skulle minska behandlingsbördan för patienter med svår hemofili A i minst två år. Även om de långsiktiga säkerhetsuppgifterna är begränsade ansågs säkerhetsprofilen vara godtagbar.

Roctavian har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att myndigheten fann att fördelarna med Roctavian är större än riskerna, men att företaget kommer att behöva lämna ytterligare belegg efter godkännandet.

Villkorat godkännande beviljas på grundval av mindre omfattande data än vad som normalt krävs. Det beviljas för läkemedel som fyller ett ouppfyllt medicinskt behov av att behandla allvarliga sjukdomar och när nyttan av att ha dem tillgängliga tidigare uppväger riskerna vid användning av läkemedlen i väntan på ytterligare belegg. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år tills uppgifterna blir fullständiga och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Roctavian saknas för närvarande?

Eftersom Roctavian har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande" ska företaget som marknadsför Roctavian lämna ytterligare data från pågående studier om läkemedlets långsiktiga säkerhet och effekt hos patienter med svår hemofili A och utföra en studie om när kortikosteroidbehandling bäst inleds hos dessa patienter för att undvika leverproblem. Företaget

kommer också att lämna in data från ett register över patienter som behandlats med Roctavian för att studera dess långsiktiga säkerhet och effekt.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Roctavian?

Företaget som marknadsför Roctavian kommer att förse patienter och hälso- och sjukvårdspersonal med utbildningsmaterial som förklarar fördelarna och riskerna med läkemedlet och osäkerheten kring dess långsiktiga effekter. Patienterna kommer också att få ett patientkort för att informera hälso- och sjukvårdspersonal om att de har fått Roctavian för behandling av hemofili A.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Roctavian har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Roctavian kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Roctavian utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Roctavian

Mer information om Roctavian finns på EMA:s webbplats: :
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.