



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/264781/2024
EMA/H/C/004774

Durveqtix (*fidanacogene elaparvovec*)

Información general sobre Durveqtix y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Durveqtix y para qué se utiliza?

Durveqtix es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de adultos con hemofilia B grave y moderadamente grave, un trastorno hemorrágico hereditario causado por la deficiencia del factor IX (una proteína necesaria para producir coágulos de sangre con el fin de detener las hemorragias). Se utiliza en adultos que no han desarrollado inhibidores (proteínas producidas por las defensas naturales del organismo) contra el factor IX y que carecen de anticuerpos contra el virus que contiene el medicamento (véase la sección sobre cómo actúa el medicamento).

Durveqtix contiene el principio activo fidanacogene elaparvovec y es un tipo de medicamento de terapia avanzada denominado «producto de terapia génica». es decir, un tipo de medicamento que actúa introduciendo genes en el organismo.

¿Cómo se usa Durveqtix?

Durveqtix solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento debe ser administrado por un médico con experiencia en el tratamiento de la hemofilia y en un centro cualificado equipado para tratar rápidamente las posibles reacciones relacionadas con la perfusión.

Durveqtix se administra una vez, en una única perfusión (goteo) en una vena que dura aproximadamente una hora. La dosis se calcula en función del peso del paciente.

Si desea más información sobre el uso de Durveqtix, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Durveqtix?

Los pacientes con hemofilia B presentan mutaciones (cambios) en un gen que el organismo necesita para producir la proteína de coagulación del factor IX, lo que da lugar a una reducción o a la ausencia de actividad del factor IX. Sin suficiente factor IX, la sangre no puede coagularse adecuadamente para controlar las hemorragias.

El principio activo de Durveqtix, el fidanacogene elaparvovec, se basa en un virus que se ha modificado para contener una copia del gen responsable de producir el factor IX. Cuando se administra al

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



paciente, el virus lleva el gen del factor IX a las células hepáticas, lo que les permite producir el factor IX que falta y, por tanto, limitar los episodios hemorrágicos.

El tipo de virus utilizado en este medicamento (serotipo RH74 del virus adenoasociado) no causa ninguna enfermedad en los seres humanos.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Durveqtix en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron 45 hombres con hemofilia B grave o moderadamente grave, se observó que Durveqtix es más eficaz que el tratamiento preventivo habitual de sustitución del factor IX para reducir el número de hemorragias.

En el estudio se comparó el número de episodios hemorrágicos que presentaron los pacientes con el tratamiento preventivo periódico de sustitución del factor IX durante un periodo de 6 meses, antes de recibir Durveqtix, con el número que experimentaron durante un periodo de 1 año que comenzó tres meses después de recibir Durveqtix. Los datos demostraron que Durveqtix fue eficaz para aumentar los niveles de factor IX y redujo la tasa anual de hemorragias de 4.50 a 1.44 hemorragias al año. Alrededor del 60 % de los pacientes (27 de 45) no experimentaron ninguna hemorragia durante al menos 2 años después del tratamiento con Durveqtix.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Durveqtix?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Durveqtix se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Durveqtix (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) incluyen el aumento de los niveles de determinadas enzimas hepáticas (transaminasas).

Durveqtix no debe administrarse a personas que sean hipersensibles (alérgicas) a cualquiera de sus componentes, que tengan una infección activa, que sea una infección aguda (a corto plazo) o una infección crónica (a largo plazo) que no esté controlada con medicamentos, o que tengan fibrosis hepática avanzada o cirrosis (formación de cicatrices en el hígado).

¿Por qué se ha autorizado Durveqtix en la UE?

En el momento de la aprobación, la mayoría de las opciones de tratamiento para pacientes con hemofilia B grave implicaban un tratamiento frecuente durante toda la vida con terapia de sustitución del factor IX. Durveqtix, administrado en una sola perfusión, demostró ser eficaz para prevenir las hemorragias durante un periodo de al menos 2 años, lo que permitió a la mayoría de los pacientes interrumpir el tratamiento con terapia de sustitución con factor IX preventivo. Sin embargo, se observó que algunos pacientes del estudio principal tuvieron que reanudar la terapia preventiva con factor IX porque Durveqtix no funcionó lo suficientemente bien en su caso. Además, existen algunas incertidumbres sobre la duración de los beneficios de Durveqtix. El perfil de seguridad de Durveqtix se consideró aceptable.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Durveqtix eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

A Durveqtix se le ha concedido una autorización condicional. Esto significa que ha sido autorizado sobre la base de datos menos exhaustivos que los requeridos normalmente porque satisface una necesidad médica no cubierta. La Agencia considera que el beneficio de disponer antes de este medicamento supera los riesgos asociados al uso del medicamento mientras se esperan más pruebas.

La empresa deberá presentar más datos sobre Durveqtix. Debe presentar datos a largo plazo sobre la eficacia y la seguridad del medicamento procedentes de estudios en curso. La Agencia revisará anualmente la información nueva que esté disponible

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Durveqtix?

Además de los datos solicitados como parte de la autorización condicional de comercialización, la compañía que comercializa Durveqtix también proporcionará datos de un estudio basados en los registros con pacientes tratados con el medicamento para estudiar su seguridad y eficacia a largo plazo, así como datos de un estudio a largo plazo.

La empresa proporcionará materiales educativos a los pacientes o a sus cuidadores y a los profesionales sanitarios con información sobre los beneficios, los riesgos y las incertidumbres sobre los efectos a largo plazo y la seguridad del medicamento. Los pacientes también deberán recibir una tarjeta de paciente para informar a los profesionales sanitarios de que han sido tratados con Durveqtix.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Durveqtix se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Durveqtix se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Durveqtix se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Durveqtix

Puede encontrar información adicional sobre Durveqtix en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.