



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanakogeenelaparvovek*)

Ülevaade ravimist Durveqtix ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Durveqtix ja milleks seda kasutatakse?

Durveqtix on ravim, mida kasutatakse täiskasvanute raviks, kellel on raske või mõõdukas B-hemofiilia. See on IX hüübimisfaktori (teatud valk, mis on vajalik verehüüvete tekitamiseks verejooksu peatamiseks) vaegusest tingitud pärilik hüübimishäire. Seda kasutatakse täiskasvanutel, kellel ei ole tekkinud IX hüübimisfaktori vastaseid inhibiitoreid (organismi looduslike kaitsemehhanismide toodetud valke) ja kellel ei ole ravimis sisalduva viiruse vastaseid antikehi (vt lõik ravimi toime kohta).

Durveqtix sisaldab toimeainet fidanakogeenelaparvovek ja see on geeniteraapiaravimite hulka kuuluv uudne ravim. Need on ravimid, mille toime avaldub geenide viimisel organismi.

Kuidas Durveqtixi kasutatakse?

Durveqtix on retseptiravim. Ravimit peab manustama hemofiilia ravis kogenud arst kvalifitseeritud asutuses, kus on olemas vahendid võimalike infusioonireaktsioonide kiireks raviks.

Durveqtixi manustatakse üks kord ühekordse ligikaudu tund kestva veeniinfusioonina. Annus sõltub patsiendi kehamassist.

Lisateavet Durveqtixi kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Durveqtix toimib?

B-hemofiiliaga patsientidel on mutatsioonid (muutused) geenis, mida organism vajab IX hüübimisfaktori tootmiseks, mistõttu IX hüübimisfaktori aktiivsus väheneb või puudub. Ilma piisava IX hüübimisfaktorita ei saa veri veritsuse ohjamiseks normaalselt hüübida.

Durveqtixi toimeaine fidanakogeenelaparvovek põhineb viirusel, mida on modifitseeritud, nii et see sisaldab IX hüübimisfaktori tootmise eest vastutava geeni koopiat. Patsiendile manustatuna kannab viirus IX hüübimisfaktori geeni maksarakkudesse, võimaldades neil toota puuduvat IX hüübimisfaktorit ja seega piirata verejooksuepisooide.

Selles ravimis kasutatav viirusetüüp (adeno-assotsieerunud viiruse serotüüp Rh74) ei põhjusta inimestel haigusi.



Mis on uuringute põhjal Durveqtixi kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 45 meest, kellel on raske või mõõdukas B-hemofiilia, leiti, et Durveqtix on verejooksude arvu vähendamisel efektiivsem kui regulaarne ennetav IX hüübimisfaktori asendusravi.

Uuringus võrreldi IX hüübimisfaktori asendusravi saavatel patsientidel 6 kuu jooksul enne Durveqtixi manustamist tekkinud verejooksuepisoodide arvu nende verejooksuepisoodide arvuga, mis tekkisid neil 1 aasta jooksul alates 3 kuu möödumisest Durveqtixi kasutamisest. Andmed näitasid, et Durveqtix suurendas efektiivselt IX hüübimisfaktori sisaldust ja vähendas verejooksude arvu 4,50-lt 1,44-le verejooksule aastas. Ligikaudu 60%-l patsientidest (27 patsienti 45st) ei esinenud vähemalt 2 aasta jooksul pärast Durveqtixi ravi mingit verejooksu.

Mis on Durveqtixi riskid?

Durveqtixi kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Durveqtixi kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on teatud maksaensüümide (transaminaaside) sisalduse suurenemine.

Durveqtixi ei tohi manustada patsientidele, kes on selle ravimi mis tahes koostisaine suhtes ülitundlikud (allergilised), kellel on aktiivne äge (lühiajaline) või krooniline (pikaajaline) ravimitele allumatu infektsioon või kellel on kaugelearenenud maksafibroos või maksatsirroos (maksa sidekoestumine).

Miks Durveqtix ELis heaks kiideti?

Heakskiitmise ajal hõlmas enamik raske B-hemofiiliaga patsientide ravivõimalusi elukestvat sagedast ravi IX hüübimisfaktori asendusraviga. Durveqtix, mida manustatakse ühekordse infusioonina, osutus efektiivseks verejooksu ennetamisel vähemalt 2 aasta jooksul, võimaldades seega enamikul patsientidest lõpetada ravi IX hüübimisfaktori ennetava asendusraviga. Samas märgiti, et mõned põhiuuringus osalenud patsiendid pidid jätkama IX faktori ennetavat ravi, sest Durveqtix ei toimunud nende jaoks piisavalt hästi. Lisaks on ebaselge, kui kaua Durveqtixi kasulikkus kestab. Durveqtixi ohutusprofiili peeti vastuvõetavaks.

Euroopa Ravimiamet otsustas, et Durveqtixi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Durveqtix on saanud müügiloa tingimusliku heakskiidu alusel. See tähendab, et ravimile on antud müügiluba vähem põhjalike andmete alusel, kui nõutakse tavapäraselt, sest see vastab täitmata ravivajadusele. Amet on arvamusel, et täiendavaid tõendeid oodates on ravimi varasema kättesaadavuse kasulikkus suurem kui kasutamisega seotud riskid.

Ettevõtte peab esitama täiendavad andmed Durveqtixi kohta. Ettevõtte peab esitama käimasolevatest uuringutest pärit pikaajalised andmed ravimi efektiivsuse ja ohutuse kohta. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe.

Mis meetmed võetakse, et tagada Durveqtixi ohutu ja efektiivne kasutamine?

Lisaks tingimusliku müügiloa raames taotletud andmetele esitab Durveqtixi turustaja ka ravimiga ravitud patsientide registripõhise uuringu andmed, et uurida ravimi pikaajalist ohutust ja efektiivsust, ning pikaajalise uuringu andmed.

Ettevõtte annab patsientidele või nende hooldajatele ja tervishoiutöötajatele teabematerjalid, mis sisaldavad teavet ravimi pikaajalise toime ja ohutuse kasulikkuse, riskide ja määramatuste kohta. Patsientidele tuleb anda ka patsiendikaart, et teavitada tervishoiutöötajaid Durveqtixi kasutamisest patsiendi raviks.

Durveqtixi ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Durveqtixi kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Durveqtixi oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Durveqtixi kohta

Lisateave Durveqtixi kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.

Ravimil on müügiluba lõppenud