



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanakogeenielaparvovekki*)

Yleistiedot Durveqtixista sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Durveqtix on ja mihin sitä käytetään?

Durveqtix on lääke aikuisten vaikean ja kohtalaisen vaikean B-hemofilian hoitoon. Tätä perinnöllistä verenvuotosairautta aiheuttaa hyytymistekijä IX:n puute. Hyytymistekijä IX on proteiini, jota tarvitaan verihyytymien muodostumiseen verenvuodon tyrehtyttämiseksi. Sitä annetaan aikuisille, joille ei ole kehittynyt hyytymistekijä IX:n inhibiittoreita (elimistön luonnollisen puolustusjärjestelmän tuottamia proteiineja) ja joilla ei ole vasta-aineita lääkkeen sisältämää virusta vastaan (ks. kohta lääkkeen vaikutustavasta).

Durveqtixin vaikuttava aine on fidanakogeenielaparvovekki, ja se on pitkälle kehittyneissä hoidoissa käytettävä geeniterapiavalmiste. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla geenejä elimistöön.

Miten Durveqtixia käytetään?

Durveqtixia saa vain lääkärin määräyksestä. Hoitoa saa antaa vain hemofilian hoitoon perehtynyt lääkäri terveydenhuollon toimintayksikössä, jossa on valmiudet hoitaa nopeasti mahdollisia infuusioon liittyviä reaktioita.

Durveqtix annetaan noin tunnin kestäväenä kertainfuusiona (tiputuksena) laskimoon. Annos määräytyy potilaan painon mukaan.

Lisätietoja Durveqtixin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Durveqtix vaikuttaa?

B-hemofiliaa sairastavilla potilailla on mutaatioita (muutoksia) geenissä, jota keho tarvitsee hyytymistekijä IX:n valmistamiseksi. Tällöin hyytymistekijä IX:n aktiivisuus joko vähenee tai sitä ei ole. Kun hyytymistekijä IX:ää ei ole tarpeeksi, veri ei pysty hyytymään kunnolla verenvuodon pysäyttämiseksi.

Durveqtixin vaikuttava aine fidanakogeenielaparvovekki perustuu virukseen, jota on muutettu siten, että se sisältää kopion geenistä, joka vastaa hyytymistekijä IX:n tuottamisesta. Potilaalle annettu virus kuljettaa hyytymistekijä IX -geenin maksasoluihin, jolloin ne voivat tuottaa puuttuvaa hyytymistekijä IX:ää ja siten vähentää verenvuototapahtumia.

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



Tässä lääkkeessä käytetty virustyyppi (adenoassosioitu virusserotyyppi Rh74) ei aiheuta sairauksia ihmisillä.

Mitä hyötyä Durveqtixista on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa, johon osallistui 45 vaikeaa tai kohtalaisen vaikeaa B-hemofiliaa sairastavaa miestä, todettiin, että Durveqtix vähentää verenvuotojen määrää tehokkaammin kuin tavanomainen hyytymistekijä IX:n korvaushoito.

Tutkimuksessa verrattiin niiden verenvuototapahtumien määrää, joita potilailla oli ollut tavanomaisella ennalta ehkäisevällä hyytymistekijä IX:n korvaushoidolla kuuden kuukauden aikana ennen Durveqtix-hoidon antamista, tapahtumien määrään vuoden mittaisella ajanjaksolla, joka alkoi kolme kuukautta Durveqtix-hoidon antamisen jälkeen. Tiedot osoittivat, että Durveqtix lisäsi tehokkaasti hyytymistekijä IX:n pitoisuutta ja vähensi vuotuista verenvuototapahtumien määrää 4,50:stä 1,44:ään verenvuototapahtumaan vuodessa. Noin 60 prosentilla potilaista (27 potilaalla 45:stä) ei ollut verenvuotoa vähintään kahteen vuoteen Durveqtix-hoidon jälkeen.

Mitä riskejä Durveqtixiin liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Durveqtixin ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Durveqtixin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat tiettyjen maksaentsyymien (transaminaasien) pitoisuuden kohoaminen.

Durveqtixia ei saa antaa potilaille, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) jollekin sen sisältämälle aineelle, joilla on joko akuutti (lyhytaikainen) tai krooninen (pitkäaikainen) aktiivinen infektio, jota ei saada hallintaan lääkkeillä, tai joilla on pitkälle edennyt maksafibroosi tai -kirroosi (maksan arpeutuminen).

Miksi Durveqtix on hyväksytty EU:ssa?

Myyntiluvan myöntämishetkellä useimpiin vaikeaa B-hemofiliaa sairastavien potilaiden hoitovaihtoehtoihin sisältyi elinikäinen, tiheästi annettava hyytymistekijä IX:n korvaushoito. Yhtenä infuusiona annettun Durveqtixin osoitettiin olevan tehokas verenvuodon ehkäisemisessä vähintään kahden vuoden ajan, minkä ansiosta useimmat potilaat pystyivät lopettamaan ennaltaehkäisevän hyytymistekijä IX:n korvaushoidon. Todettiin kuitenkin, että joidenkin päätutkimukseen osallistuneiden potilaiden oli jatkettava ennaltaehkäisevää hyytymistekijä IX:n korvaushoitoa, koska Durveqtix ei tehonnut riittävän hyvin. Lisäksi siihen, miten pitkään Durveqtixin hyödyt kestävät, liittyy joitakin epävarmuustekijöitä. Durveqtixin turvallisuusprofiilia pidettiin hyväksyttävänä.

Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Durveqtixin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Durveqtixille on myönnetty ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa, että sille on myönnetty myyntilupa tavanomaista suppeampien tietojen perusteella, koska kyseisessä käyttöaiheessa hoitovaihtoehtoja on vain vähän. Virasto arvioi, että varhaisemman markkinoille saattamisen hyöty on suurempi kuin käyttöön liittyvät riskit sinä aikana, kun lääkkeestä odotetaan lisänäyttöä.

Yhtiön on toimitettava lisätietoja Durveqtixista. Sen on toimitettava meneillään olevista tutkimuksista saadut pitkän aikavälin tiedot lääkkeen tehosta ja turvallisuudesta. Virasto arvioi vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot.

Miten voidaan varmistaa Durveqtixin turvallinen ja tehokas käyttö?

Ehdollisen myyntiluvan osana pyydettyjen tietojen lisäksi Durveqtixia markkinoiva yhtiö toimittaa tiedot rekisteripohjaisesta tutkimuksesta, joka tehdään valmisteella hoidettavilla potilailla valmisteen pitkäaikaisen turvallisuuden ja tehon tutkimiseksi, sekä tiedot pitkäaikaisesta tutkimuksesta.

Yhtiö toimittaa potilaille tai heitä hoitaville henkilöille ja terveydenhuollon ammattilaisille perehdytysmateriaalia, jossa on tietoa lääkkeen pitkän aikavälin vaikutuksiin ja turvallisuuteen liittyvistä hyödyistä, riskeistä ja epävarmuustekijöistä. Potilaille on annettava myös potilaskortti, jossa on tietoa terveydenhuollon ammattilaisille siitä, että potilas on saanut Durveqtix-hoitoa.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Durveqtixin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Durveqtixin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Durveqtix-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Durveqtixista

Lisätietoja Durveqtixista on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.