



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672431/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoktokogeeni-roksaparvovekki*)

Yleistiedot Roctavian-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Roctavian on ja mihin sitä käytetään?

Roctavian on lääke, jolla hoidetaan vaikeaa tyyppin A hemofiliaa. Se on perinnöllinen verenvuotosairaus, jonka aiheuttaa hyytymistekijä VIII:n puutos. Sitä käytetään aikuisilla, joilla ei ole hyytymistekijä VIII:n estäjiä (vasta-aineita) eikä vasta-aineita adenoassosioidun viruksen serotyyppiä 5 (AAV5) vastaan.

Roctavianin vaikuttava aine on valoktokogeeni-roksaparvovekki, ja se on pitkälle kehitetyissä terapioissa käytettävä geeniterapia-ainemateriaali. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla geenejä elimistöön.

Hemofilia A on harvinainen sairaus, ja Roctavian nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 21. maaliskuuta 2016. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622.

Miten Roctavian-valmistetta käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoito on aloitettava sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta hemofilian tai verenvuotosairauksien hoidosta. Lääke on annettava tilassa, jossa on välineet infuusion liittyvien reaktioiden nopeaa hoitoa varten.

Roctaviania annetaan useita tunteja kestäväenä kertainfuusiona (tiputuksena) laskimoon. Annos määräytyy potilaan painon mukaan. Potilaille voidaan antaa muita lääkkeitä infuusion liittyvien reaktioiden riskin vähentämiseksi.

Lisätietoja Roctavianin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Roctavian vaikuttaa?

Roctavian valmistetaan viruksesta (AAV5), jota on muunnettu siten, että se sisältää hyytymistekijä VIII:aan sisältyvän geenin, joka puuttuu hemofilia A -potilailta. Kun virus on annettu potilaalle, sen odotetaan kuljettavan hyytymistekijä VIII:n sisältävän geenin maksan soluihin, jolloin ne voivat valmistaa puuttuvaa hyytymistekijä VIII:aa pitkäkestoisesti. Tämän odotetaan saavan verenvuotosairauden hallintaan.

Lääkevalmisteesta käytetty virustyyppi (AA-virus) ei aiheuta sairautta ihmisessä.

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



Mitä hyötyä Roctavianista on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa, johon osallistui 134 vakavaa hemofilia A:ta sairastavaa aikuista miespotilasta, todettiin, että Roctavian oli tehokas hyytymistekijä VIII:n aktiivisuuden lisäämisessä ja että vaikutus kesti vähintään kaksi vuotta. Lääkkeen kerta-annoksen antamisen jälkeen 104 viikon ajan 75,4 prosentilla potilaista hyytymistekijä VIII:n pitoisuus oli keskimäärin vähintään 5 kansainvälistä yksikköä desilitrassa (IU/dl), mikä vastaa lievää hemofiliaa. Lisäksi verenvuototapahtumien määrä vuodessa väheni 85,5 prosenttia, ja tarve hyytymistekijä VIII:aa korvaavaan lisähoitoon väheni 97,5 prosenttia.

Mitä riskejä Roctavianiin liittyy?

Roctavianin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin kolmelle potilaalle kymmenestä) ovat kohonneet maksaentsyymien alaniiniaminotransferaasi- ja aspartaattiaminotransferaasipitoisuudet (merkkejä mahdollisista maksaongelmista), laktaattidehydrogenaasi-entsyymien kohonneet pitoisuudet (merkki mahdollisista kudosaivaurioista), pahoinvointi ja päänsärky. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Roctavianin haittavaikutuksista.

Roctaviaania ei saa antaa henkilöille, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) jollekin lääkkeen valmistusaineelle tai joilla on aktiivinen tai krooninen (pitkäaikainen) infektio, joka ei ole lääkityksellä hallinnassa, tai merkittävä maksafibroosi tai maksakirroosi (maksan arpeutuminen).

Miksi Roctavian on hyväksytty EU:ssa?

Hemofilia A:ta sairastavat potilaat tarvitsevat elinikäistä hoitoa, jossa annetaan yksi tai useampi injektio viikossa tai kuukaudessa korvaamaan puuttuvan hyytymistekijä VIII:n tai jäljittelemään sitä. Roctavianin on osoitettu lisäävän tehokkaasti hyytymistekijä VIII:n pitoisuutta hemofilia A -potilailla, ja vaikutus kestää vähintään kaksi vuotta. Euroopan lääkevirasto katsoi myös, että koska Roctavian annetaan yhtenä infuusiona, se vähentäisi vaikeaa hemofilia A:ta sairastavien potilaiden hoidon kuormittavuutta vähintään kahden vuoden ajan. Vaikka pitkän aikavälin turvallisuustietoja on vähän, turvallisuusprofiilia pidettiin hyväksyttävänä.

Roctavianille annettiin ns. ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa sitä, että virasto katsoi Roctavianin hyödyn olevan sen riskejä suurempi. Yhtiön on kuitenkin toimitettava lääkevalmisteesta lisänäyttöä myyntiluvan myöntämisen jälkeen.

Ehdollinen myyntilupa myönnetään tavanomaista vähäisempien tietojen perusteella. Se myönnetään sellaisten vakavien sairauksien hoitoon tarkoitetuille lääkkeille, joihin on vain vähän hoitovaihtoehtoja, ja kun varhaisemman markkinoille saattamisen hyöty on suurempi kuin käyttöön liittyvät riskit sinä aikana, kun lääkkeitä odotetaan lisänäyttöä. Euroopan lääkevirasto arvioi mahdollisesti saatavat uudet tiedot vuosittain, kunnes tiedot ovat kattavat, ja päivittää tätä yhteenvetoa tarvittaessa.

Mitä tietoja Roctavianista odotetaan vielä saatavan?

Koska Roctavianille on annettu ehdollinen myyntilupa, sitä markkinoiva yhtiö toimittaa lisätietoja meneillään olevista tutkimuksista, jotka koskevat lääkkeen pitkäaikaisesta turvallisuudesta ja tehoa vaikeaa hemofilia A:ta sairastavilla potilailla, ja tekee tutkimuksen siitä, milloin kortikosteroidihoito olisi parasta aloittaa näillä potilailla maksaongelmien välttämiseksi. Yhtiö toimittaa myös tietoa Roctavianilla hoidettujen potilaiden rekisteristä valmisteen pitkäaikaisen turvallisuuden ja tehon tutkimista varten.

Miten voidaan varmistaa Roctavian-valmisteen turvallinen ja tehokas käyttö?

Roctaviania markkinoiva yhtiö toimittaa potilaille ja terveydenhuollon ammattilaisille perehdytysmateriaalia, jossa kerrotaan lääkkeen pitkäaikaisvaikutuksiin liittyvistä hyödyistä, riskeistä ja epävarmuustekijöistä. Potilaille annetaan myös mukana pidettävä potilaskortti, jossa terveydenhuollon ammattilaisille kerrotaan potilaan saaneen Roctavian-valmistetta hemofilia A:n hoitoon.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa Roctavian-valmisteen turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi, sisältävät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Roctavian-valmisteen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Roctavianista ilmoitetut epäillyt haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Roctavianista

Lisää tietoa Roctavianista on saatavissa viraston verkkosivustolla:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.