



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanacogene elaparvovec*)

Aperçu de Durveqtix et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Durveqtix et dans quel cas est-il utilisé?

Durveqtix est un médicament indiqué dans le traitement des adultes atteints d'hémophilie B sévère ou modérément sévère, un trouble hémorragique héréditaire dû à un déficit en facteur IX (une protéine nécessaire à la production de caillots sanguins pour arrêter les saignements). Il est utilisé chez les adultes qui n'ont pas développé d'inhibiteurs (protéines produites par les défenses naturelles de l'organisme) contre le facteur IX et qui ne possèdent pas d'anticorps contre le virus contenu dans le médicament (voir la rubrique sur le mode d'action du médicament).

Durveqtix, qui contient la substance active fidanacogene elaparvovec, est un type de médicament de thérapie innovante dénommé «produit de thérapie génique». Il s'agit d'un type de médicament qui agit en libérant des gènes dans le corps.

Comment Durveqtix est-il utilisé?

Durveqtix n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être administré par un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie et dans un établissement qualifié équipé pour traiter rapidement d'éventuelles réactions liées à la perfusion.

Durveqtix est administré une fois, sous la forme d'une perfusion unique (goutte-à-goutte) dans une veine pendant environ une heure. La dose dépend du poids du patient.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Durveqtix, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Durveqtix agit-il?

Les patients atteints d'hémophilie B présentent des mutations (modifications) d'un gène dont l'organisme a besoin pour fabriquer la protéine facteur IX de coagulation, ce qui entraîne une réduction ou l'absence d'activité du facteur IX. Sans facteur IX en suffisance, le sang est incapable de coaguler correctement pour contrôler les saignements.

La substance active de Durveqtix, le fidanacogene elaparvovec, est basée sur un virus qui a été modifié pour contenir une copie du gène responsable de la production du facteur IX. Lorsque cette substance active est administrée au patient, le virus transporte le gène du facteur IX dans les cellules

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



du foie, ce qui leur permet de produire le facteur IX manquant et donc de limiter les épisodes hémorragiques.

Le type de virus utilisé dans ce médicament (virus adéno-associé de sérotype Rh74) ne cause pas de maladie chez l'homme.

Quels sont les bénéfices de Durveqtix démontrés au cours des études?

Une étude principale portant sur 45 hommes souffrant d'hémophilie B sévère ou modérément sévère a montré que Durveqtix est plus efficace que le traitement préventif régulier de substitution du facteur IX pour réduire le nombre de saignements.

L'étude a comparé le nombre d'épisodes hémorragiques des patients sous traitement préventif régulier de substitution du facteur IX au cours d'une période de six mois avant de recevoir Durveqtix au nombre d'épisodes hémorragiques survenus sur une période d'un an commençant trois mois après avoir reçu Durveqtix. Les données ont montré que Durveqtix était efficace pour augmenter les taux de facteur IX et qu'il avait réduit le taux de saignement annuel de 4,50 à 1,44 saignements par an. Environ 60 % des patients (27 sur 45) n'ont pas subi de saignements pendant au moins 2 ans après le traitement par Durveqtix.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Durveqtix?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Durveqtix, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Durveqtix (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) comprennent une augmentation des taux de certaines enzymes hépatiques (transaminases).

Durveqtix ne doit pas être administré aux personnes qui sont hypersensibles (allergiques) à l'un de ses composants, qui souffrent d'une infection active, soit une infection aiguë (à court terme), soit une infection chronique (à long terme) qui n'est pas contrôlée par des médicaments, ou qui présentent une fibrose hépatique avancée ou une cirrhose hépatique avancée (lésions cicatricielles du foie).

Pourquoi Durveqtix est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'approbation, la plupart des options de traitement pour les patients atteints d'hémophilie B sévère impliquaient un traitement fréquent tout au long de la vie avec un traitement de substitution du facteur IX. Durveqtix, administré sous forme de perfusion unique, s'est avéré efficace pour prévenir les saignements sur une période d'au moins 2 ans, ce qui a permis à la plupart des patients d'arrêter le traitement préventif de substitution du facteur IX. Il a toutefois été noté que certains patients de l'étude principale avaient dû reprendre le traitement préventif du facteur IX car Durveqtix ne fonctionnait pas suffisamment bien pour eux. En outre, il existe certaines incertitudes quant à la durée des bénéfices de Durveqtix. Le profil de sécurité de Durveqtix a été jugé acceptable.

Dès lors, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Durveqtix sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Une autorisation conditionnelle a été délivrée pour Durveqtix. L'autorisation conditionnelle est accordée sur la base de données moins détaillées que celles qui sont normalement requises. Elle est accordée pour les médicaments qui répondent à un besoin médical non satisfait. L'Agence estime que les

bénéfices de la mise à disposition anticipée de ce médicament sont supérieurs aux risques associés à son utilisation, dans l'attente de preuves supplémentaires.

La société doit fournir des données supplémentaires sur Durveqtix. Elle doit soumettre des données à long terme sur l'efficacité et la sécurité du médicament, issues d'études en cours. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Durveqtix?

Outre les données demandées dans le cadre de l'autorisation de mise sur le marché conditionnelle, la société qui commercialise Durveqtix fournira également des données provenant d'une étude basée sur le registre menée auprès de patients traités avec le médicament afin d'étudier sa sécurité et son efficacité à long terme, ainsi que des données provenant d'une étude à long terme.

La société fournira aux patients ou à leurs soignants ainsi qu'aux professionnels de santé du matériel éducatif contenant des informations sur les bénéfices, les risques et les incertitudes concernant les effets à long terme et la sécurité du médicament. Les patients doivent également recevoir une carte de patient pour informer les professionnels de santé qu'ils ont été traités par Durveqtix.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Durveqtix ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Durveqtix sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Durveqtix sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Durveqtix:

De plus amples informations sur Durveqtix sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.