



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Durveqtix (*fidanakogen elaparvovek*)

Pregled informacija o lijeku Durveqtix i zašto je odobren u EU-u

### Što je Durveqtix i za što se koristi?

Durveqtix je lijek koji se koristi za liječenje odraslih osoba s teškom ili umjereno teškom hemofilijom B, nasljednim poremećajem krvarenja koji je uzrokovan nedostatkom faktora IX (proteina potrebnog za stvaranje krvnih ugrušaka radi zaustavljanja krvarenja). Primjenjuje se u odraslih osoba koje nisu razvile inhibitore (proteine koje proizvodi sustav prirodne obrane tijela) protiv faktora IX i koje nemaju protutijela na virus sadržan u lijeku (vidjeti dio o načinu djelovanja lijeka).

Durveqtix sadrži djelatnu tvar fidanakogen elaparvovek i vrsta je lijeka za naprednu terapiju koji se naziva „liječak za gensku terapiju“. Riječ je o vrsti lijekova koja djeluje unosom gena u tijelo.

### Kako se Durveqtix primjenjuje?

Durveqtix se izdaje samo na liječnički recept. Liječenje mora provoditi liječnik s iskustvom u liječenju hemofilije u specijaliziranoj ustanovi opremljenoj za brzo zbrinjavanje mogućih reakcija povezanih s infuzijom.

Durveqtix se primjenjuje jednokratno infuzijom (ukapavanjem) u venu koja traje oko sat vremena. Doza lijeka ovisi o tjelesnoj težini bolesnika.

Za više informacija o primjeni lijeka Durveqtix pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

### Kako djeluje Durveqtix?

Bolesnici s hemofilijom B imaju mutacije (promjene) u genu koji je tijelu potreban za stvaranje proteina za zgrušavanje koji se naziva faktor IX, što dovodi do smanjenja ili izostanka aktivnosti faktora IX. Ako nema dovoljno faktora IX, krv se ne može pravilno zgrušavati da bi se zaustavilo krvarenje.

Djelatna tvar u lijeku Durveqtix, fidanakogen elaparvovek, temelji se na virusu koji je modificiran kako bi sadržavao kopiju gena odgovornog za proizvodnju faktora IX. Kad bolesnik primi lijek, virus će prenijeti gen faktora IX u stanice jetre, što će im omogućiti stvaranje faktora IX koji nedostaje i time ograničiti epizode krvarenja.



Vrsta virusa koja se upotrebljava u ovom lijeku (adeno-pripdruženi virusni serotip Rh74) ne uzrokuje bolest u ljudi.

## **Koje su koristi od lijeka Durveqtix utvrđene u ispitivanjima?**

U glavnom ispitivanju provedenom među 45 muškaraca s teškom ili umjereno teškom hemofilijom B utvrđeno je da je lijek Durveqtix učinkovitiji od redovne preventivne nadomjesne terapije faktorom IX u pogledu smanjenja broja krvarenja.

U ispitivanju je uspoređen broj epizoda krvarenja koje su bolesnici imali uz redovitu preventivnu nadomjesnu terapiju faktorom IX tijekom šestomjesečnog razdoblja prije primanja lijeka Durveqtix s brojem epizoda tijekom jednogodišnjeg razdoblja koje je započelo tri mjeseca nakon primanja lijeka Durveqtix. Podatci su pokazali da je lijek Durveqtix učinkovit u pogledu povećanja razina faktora IX i da smanjuje godišnju stopu krvarenja s 4,50 na 1,44 krvarenja godišnje. Otprilike 60 % bolesnika (27 od 45) nije imalo krvarenja najmanje dvije godine nakon terapije lijekom Durveqtix.

## **Koji su rizici povezani s lijekom Durveqtix?**

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Durveqtix potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Durveqtix (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju povišene razine određenih jetrenih enzima (transaminaze).

Durveqtix se ne smije davati osobama koje su preosjetljive (alergične) na bilo koji od njegovih sastojaka, koje imaju aktivnu akutnu (kratkotrajnu) infekciju ili kroničnu (dugotrajnu) infekciju koja se ne kontrolira lijekovima ili koje imaju uznapredovalu fibrozu jetre ili cirozu (ožiljke na jetri).

## **Zašto je lijek Durveqtix odobren u EU-u?**

U vrijeme odobrenja većina mogućnosti liječenja bolesnika s teškom hemofilijom B uključivala je cjeloživotno često liječenje nadomjesnom terapijom faktorom IX. Lijek Durveqtix, primijenjen kao jednokratna infuzija, pokazao se učinkovitim u sprečavanju krvarenja tijekom razdoblja od najmanje dvije godine, čime je većini bolesnika omogućeno da prekinu preventivnu nadomjesnu terapiju faktorom IX. Međutim, uočeno je da su neki bolesnici u glavnom ispitivanju morali nastaviti s preventivnom terapijom faktorom IX jer lijek Durveqtix za njih nije bio dovoljno učinkovit. Osim toga, postoje određene nesigurnosti u pogledu toga koliko dugo traju koristi od lijeka Durveqtix. Sigurnosni profil lijeka Durveqtix smatrao se prihvatljivim.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Durveqtix nadmašuju s njim povezane rizike te da on može biti odobren za primjenu u EU-u.

Za lijek Durveqtix izdano je uvjetno odobrenje. To znači da je odobren na temelju manje opsežnih podataka nego što je to obično potrebno jer ispunjava nezadovoljenu medicinsku potrebu. Agencija smatra da korist od ranijeg stavljanja lijeka na raspolaganje nadmašuje sve rizike povezane s njegovom primjenom dok se čekaju dodatni dokazi.

Tvrtka mora dostaviti dodatne podatke o lijeku Durveqtix. Mora dostaviti dugoročne podatke iz ispitivanja koja su u tijeku o učinkovitosti i sigurnosti primjene lijeka. Svake će godine Europska agencija za lijekove procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Durveqtix?**

Osim podataka zatraženih kao dio uvjetnog odobrenja za stavljanje lijeka u promet, tvrtka koja stavlja lijek Durveqtix u promet također će dostaviti podatke iz ispitivanja koje se temelji na registru i koje obuhvaća bolesnike liječene tim lijekom kako bi se ispitala njegova dugoročna sigurnost primjene i učinkovitost te podatke iz dugoročnog ispitivanja.

Tvrtka će bolesnicima ili njihovim njegovateljima i zdravstvenim radnicima dostaviti materijale za obuku s informacijama o koristima, rizicima i nesigurnostima u pogledu dugoročnih učinaka i sigurnosti primjene lijeka. Bolesnici također moraju dobiti karticu za bolesnike kako bi zdravstveni radnici znali da su primili lijek Durveqtix.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Durveqtix nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Durveqtix kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Durveqtix pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

## **Ostale informacije o lijeku Durveqtix**

Više informacija o lijeku Durveqtix dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix).