



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanakogén elaparovok*)

A Durveqtix-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Durveqtix és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Durveqtix a súlyos és közepesen súlyos, B típusú hemofíliában szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazott gyógyszer. Ez egy örökletes vérzési rendellenesség, amelyet a IX-es faktor (a véralvadáshoz és a vérzés megállításához szükséges fehérje) hiánya okoz. Olyan felnőtteknél alkalmazzák, akiknél nem alakultak ki inhibitorok (a szervezet természetes védekező rendszere által termelt fehérjék) a IX-es faktorra szemben, és akik nem rendelkeznek antitestekkel a gyógyszerben található vírus ellen (lásd a gyógyszer hatásmechanizmusáról szóló pontot).

A Durveqtix hatóanyaga a fidanakogén elaparovok, amely egy „génterápiás készítménynek” nevezett fejlett terápiás gyógyszertípus. Ez a gyógyszertípus azért fejti ki hatását, hogy géneket juttat a szervezetbe.

Hogyan kell alkalmazni a Durveqtix-et?

A Durveqtix csak receptre kapható. A kezelést a hemofília kezelésében tapasztalt orvosnak olyan környezetben kell beadnia, ahol az infúzióval kapcsolatos reakciók kezelésére azonnal rendelkezésre áll a szakszemélyzet és a felszerelés.

A Durveqtix-et egyszer, körülbelül egy órán át tartó, egyetlen vénás infúzióban kell beadni. Az adag a beteg testtömegétől függ.

A Durveqtix alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Durveqtix?

A B típusú hemofíliában szenvedő betegeknél mutációk (elváltozások) vannak jelen abban a génben, amelyre a szervezetnek szüksége van a IX-es véralvadási fehérje faktor előállításához, ami a IX-es faktor aktivitásának csökkenését vagy hiányát eredményezi. Elegendő IX-es faktor nélkül nem megfelelő a véralvadás a vérzés csillapítására.

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



A Durveqtix hatóanyaga, a fidanakogén elaparovok egy olyan víruson alapul, amelyet úgy módosítottak, hogy tartalmazza a IX-es faktor előállításáért felelős gén másolatát. Amikor beadják a betegnek, a vírus a májsejtekbe juttatja a IX-es faktor gént, ami lehetővé teszi, hogy azok előállítsák a hiányzó IX-es faktort, és ezáltal csökkenjenek a vérzéses epizódok.

Az ebben a gyógyszerben alkalmazott vírustípus (Rh74 szerotípusú adeno-asszociált vírus) nem okoz az emberben megbetegedést.

Milyen előnyei voltak a Durveqtix alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy 45, súlyos vagy közepesen súlyos, B típusú hemofíliában szenvedő férfi részvételével végzett fő vizsgálat azt mutatta, hogy a Durveqtix a vérzések számának csökkentésében hatékonyabb, mint a rendszeres, megelőző, IX-es faktort pótló kezelés.

A vizsgálatban a Durveqtix alkalmazását megelőző 6 hónapos időszakban rendszeres, megelőző, IX-es faktort pótló kezelésben részesült betegek vérzéses epizódjainak számát a Durveqtix alkalmazását követően három hónappal kezdődő, 1 éves időszakban megfigyelt epizódok számával hasonlították össze. Az adatok azt mutatták, hogy a Durveqtix hatásosan növelte a IX-es faktor szintjét, és évi 4,50-ról 1,44-ra csökkentette az éves vérzési arányt. A Durveqtix-szel végzett kezelést követően legalább 2 évig a betegek körülbelül 60%-ánál (45-ből 27-nél) nem jelentkezett vérzés.

Milyen kockázatokkal jár a Durveqtix alkalmazása?

A Durveqtix alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a beteg tájékoztatóban található.

A Durveqtix leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) közé tartozik a bizonyos májenzimek (transzaminázok) megemelkedett szintje.

A Durveqtix nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiások) a készítmény bármely összetevőjével szemben, akiknél aktív fertőzés áll fenn, amely akut (rövid távú) fertőzés, vagy gyógyszerek által nem szabályozott krónikus (hosszú távú) fertőzés, illetve akik előrehaladott májfibrózisban vagy cirrózisban (a máj hegesedése) szenvednek.

Miért engedélyezték a Durveqtix forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában a súlyos B típusú hemofíliában szenvedő betegek esetében a legtöbb kezelési lehetőség egész életen át tartó, IX-es faktort pótló, gyakori kezelést jelentett. Az egyetlen infúzióként adott Durveqtix legalább két éven keresztül hatásosnak bizonyult a vérzés megelőzésében, ami lehetővé tette a betegek többségénél a megelőző, IX-es faktort pótló kezelés leállítását.

Ugyanakkor megjegyezték, hogy a fő vizsgálatban részt vevő egyes betegeknél újra kellett kezdeni a megelőző, IX-es faktort pótló kezelést, mivel a Durveqtix nem volt elég hatásos számukra. Ezenkívül fennáll némi bizonytalanság azzal kapcsolatban, hogy mennyi ideig tartanak a Durveqtix alkalmazásának előnyei. A Durveqtix biztonságossági profilját elfogadhatónak tartották.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Durveqtix alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Durveqtix-et „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a feltételes forgalombahozatali engedélyt a szokásosan előírtaknál kevésbé átfogó adatok alapján adják ki olyan gyógyszerek esetében, amelyek egyes súlyos betegségek kezelésére vonatkozóan kielégítetlen gyógyszerigényt elégítenek ki. Az Ügynökség úgy véli, hogy a gyógyszer korábbi rendelkezésre

állásának előnyei meghaladják a gyógyszer alkalmazásával járó kockázatokat addig is, amíg további bizonyítékokra kell várni.

A vállalatnak további adatokat kell szolgáltatnia a Durveqtix-ről. A vállalatnak a folyamatban lévő vizsgálatokból származó, a gyógyszer hatásosságára és biztonságosságára vonatkozó hosszú távú adatokat kell benyújtania. Az Ügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Durveqtix biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A feltételes forgalombahozatali engedély folyamatának részeként kért adatok mellett a Durveqtix-et forgalmazó vállalat a gyógyszerrel kezelt betegekkel végzett, regiszteralapú vizsgálatból származó adatokat is rendelkezésre fog bocsátani a gyógyszer hosszú távú biztonságosságának és hatásosságának tanulmányozása céljából, valamint egy hosszú távú vizsgálatból származó adatokat.

A vállalat a betegek, illetve gondozók, valamint az egészségügyi szakemberek számára oktatóanyagokat fog biztosítani, amelyek a gyógyszer előnyeire, kockázataira, valamint a hosszú távú hatásaival és biztonságosságával kapcsolatos bizonytalanságokra vonatkozó információkat tartalmaznak. A betegeknek betegkártyát is kell adni, amellyel tájékoztatni tudják az egészségügyi szakembereket arról, hogy Durveqtix-szel kezelték őket.

A Durveqtix biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szinten feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Durveqtix alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Durveqtix alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Durveqtix-szel kapcsolatos egyéb információ

A Durveqtix-szel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.