



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672434/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*valoktokogén roxaparvovek*)

A Roctavian-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Roctavian és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Roctavian a VIII-as faktorként ismert véralvadási fehérje hiánya miatt kialakuló örökletes vérzékenységben, A-típusú hemofiliában szenvedő betegek kezelésére alkalmazott gyógyszer. Olyan felnőtteknél alkalmazzák, akik szervezetében nincsenek jelen a VIII-as faktor elleni inhibitorok (antitestek), illetve nem rendelkeznek az 5-ös szerotípusú adeno-asszociált vírus (AAV5) elleni antitestekkel.

A Roctavian hatóanyaga a valoktokogén roxaparvovek, és a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „génterápiás gyógyszernek” neveznek. Ez a gyógyszertípus azáltal fejt ki hatását, hogy géneket juttat a szervezetbe.

Mivel az A-típusú hemofília „ritkának” minősül, ezért a Roctavian-t 2016. március 21-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622.

Hogyan kell alkalmazni a Roctavian-t?

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a hemofília vagy a vérzési rendellenességek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvos felügyelete alatt kell megkezdeni. A gyógyszert olyan létesítményben kell beadni, amely megfelelően felszerelt az infúzióval összefüggésben fellépő reakciók gyors kezelésére.

A Roctavian-t vénásan adják be több órán át tartó egyetlen infúzió (cseppinfúzió) formájában. Az adag a beteg testtömegétől függ. Előfordulhat, hogy a betegek az infúzióval összefüggésben felmerülő reakciók kockázatának csökkentésére más gyógyszereket is kapnak.

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

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



Hogyan fejti ki hatását a Roctavian?

A Roctavian-t egy olyan vírusból (AAV5) állítják elő, amelyet úgy módosítottak, hogy tartalmazza a VIII-as faktor génjét, amely az A-típusú hemofíliában szenvedő betegeknek hiányzik. A betegnek történő beadását követően a vírus várhatóan bejuttatja a VIII-as faktor gént a májsejtekbe, ezáltal hosszú időre képessé teszi azokat a hiányzó VIII-as faktor előállítására. Ettől várják a vérzési rendellenesség szabályozását.

A gyógyszerben alkalmazott vírustípus (adeno-asszociált vírus) nem okoz emberi megbetegedést.

Milyen előnyei voltak a Roctavian alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban, amelyben 134, súlyos A-típusú hemofíliában szenvedő, felnőtt férfi beteg vett részt, azt találták, hogy a Roctavian hatásos volt a VIII-as faktor aktivitásának növelésében, és hogy ez a növekedés legalább 2 évig fennmaradt. 104 héttel a gyógyszer egyszeri adagjának beadása után a betegek 75,4%-ánál a VIII-as faktor átlagos aktivitási szintje legalább 5 nemzetközi egység/dl (NE/dL) volt, ami enyhe hemofíliának megfelelő érték. Ezenfelül a vérzéses epizódok éves száma 85,5%-kal csökkent, a VIII-as faktort pótló további kezelésre pedig 97,5%-kal kisebb arányban volt szükség.

Milyen kockázatokkal jár a Roctavian alkalmazása?

A Roctavian leggyakoribb mellékhatásai (melyek 10 beteg közül több mint 3-nál jelentkezhetnek) az alanin-aminotranszferáz és az aszpartát-aminotranszferáz májenzimek emelkedett szintje (a lehetséges májproblémák jelei), a laktát-dehidrogenáz enzim emelkedett szintje (a lehetséges szövetkárosodás jele), a hányinger és a fejfájás. A Roctavian alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Roctavian nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiásak) a készítmény bármely összetevőjével szemben, illetve akik gyógyszerekkel nem kontrollálható, aktív vagy krónikus (hosszan tartó) fertőzésben, jelentős mértékű májfibrózisban vagy májcirrózisban (a máj hegesedése) szenvednek.

Miért engedélyezték a Roctavian forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az A-típusú hemofíliában szenvedő betegeknek a hiányzó VIII-as faktor pótlása vagy utánzása érdekében hetente vagy havonta egy vagy több injekcióval végzett, egész életen át tartó kezelésre van szükség. A Roctavian hatásosnak bizonyult a VIII-as faktor aktivitási szintjének növelésében az A-típusú hemofíliában szenvedő betegeknek, és ez az emelkedés legalább 2 évig fenntartható. Az Európai Gyógyszerügynökség továbbá úgy vélte, hogy mivel a Roctavian-t egyszeri infúzióként adják be, legalább 2 évig csökkentené a súlyos A-típusú hemofíliában szenvedő betegek kezelési terheit. Bár a hosszú távú biztonságossági adatok korlátozottak, a biztonságossági profilt elfogadhatónak tartották.

A Roctavian-t „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy az Ügynökség megállapította, hogy a Roctavian alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, de a vállalatnak az engedélyezést követően további bizonyítékokat kell benyújtania.

A feltételes engedélyt a szokásosan előírtaknál kevésbé átfogó adatok alapján adják ki. Olyan gyógyszerek esetén adják, amelyek kielégítetlen orvosi igényt elégítenek ki egyes súlyos betegségek kezelésére, és amennyiben a rendelkezésre állás előnyei meghaladják a gyógyszer alkalmazásával járó kockázatokat addig is, amíg további bizonyítékokra kell várni. Az Ügynökség évente felülvizsgál

minden újonnan hozzáférhető információt, amíg az adatok átfogóvá nem válnak, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Roctavian-nal kapcsolatban?

Mivel a Roctavian-t feltételesen engedélyezték, a Roctavian-t forgalmazó vállalat további adatokat fog benyújtani a súlyos A-típusú hemofíliában szenvedő betegeknél a gyógyszer hosszú távú biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó, folyamatban lévő vizsgálatokból, és vizsgálatot fog végezni arra vonatkozóan, hogy a májproblémák elkerülése érdekében melyik a legjobb időpont a kortikoszteroid kezelés megkezdésére ezeknél a betegeknél. A vállalat a Roctavian-nal kezelt betegek nyilvántartásából származó adatokat is be fog nyújtani a gyógyszer hosszú távú biztonságosságának és hatásosságának vizsgálatához.

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

A Roctavian-t forgalmazó vállalat a betegek és az egészségügyi szakemberek számára oktatóanyagot fog biztosítani, amely ismerteti a gyógyszer előnyeit, kockázatait, valamint a hosszú távú hatásaival kapcsolatos bizonytalanságokat. A betegek egy betegkártyát is kapnak, hogy tájékoztatni tudják az egészségügyi szakembereket arról, hogy az A-típusú hemofília kezelésére Roctavian-t kaptak.

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

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

A Roctavian-nal kapcsolatos egyéb információ

A Roctavian-nal kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.