



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/478238/2023
EMA/H/C/004454

Veyvondi (*vonikog-alfa*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Veyvondi és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Veyvondi egy, a von Willebrand-betegségben (örökölt vérzési rendellenesség) szenvedő olyan felnőtteknél és gyermekeknél alkalmazott vérzéscsillapító gyógyszer, akiknél nem alkalmazható dezmpresszinnel (a vérzés megállítására szolgáló másik gyógyszerrel) végzett kezelés, vagy akiknél a dezmpresszin hatástalan.

Felnőtteknél a vérzéses epizódok megelőzésére és kezelésére alkalmazzák, többek között műtétek alatt. Gyermekeknél csak műtétől független vérzések kezelésére alkalmazzák, továbbá gyermekeknél nem használják vérzések megelőzésére sem.

A Veyvondi hatóanyaga a vonikog-alfa.

Hogyan kell alkalmazni a Veyvondi-t?

A Veyvondi csak receptre kapható, és a kezelést a vérzési rendellenességek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell felügyelnie.

A Veyvondi-t vénás injekcióban kell beadni. Az injekciók adagja és gyakorisága attól függ, hogy a Veyvondi-t műtét alatt vagy vérzéses epizódok kezelésére, illetve megelőzésére alkalmazzák-e.

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

Hogyan fejti ki hatását a Veyvondi?

A von Willebrand-betegségben szenvedő személyeknél hiányzik a normális véralvadáshoz szükséges egyik fehérje, a von Willebrand-faktor, ennek következtében pedig könnyebben véreznek. A Veyvondi hatóanyagát, a vonikog-alfát laboratóriumban állítják elő, és ugyanúgy fejti ki hatását, mint a természetes von Willebrand-faktor. A hiányzó fehérje pótlása révén elősegíti a véralvadást, és lehetővé teszi a vérzés kontrollálását.

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



Milyen előnyei voltak a Veyvondi alkalmazásának a vizsgálatok során?

Felnőtteknél végzett vizsgálatok

A Veyvondi a von Willebrand-betegségben szenvedő felnőttek bevonásával végzett három fő vizsgálatban hatásosnak bizonyult a vérzéses epizódok kezelésében. A Veyvondi-t ezekben a vizsgálatokban nem hasonlították össze más kezelésekkel.

Az első vizsgálatban 37 beteg vett részt, akiknek a vérzéses epizódok kezelésére Veyvondi-t adtak. A hatásosság fő mutatója annak az értékelésén alapult, hogy mennyire volt hatásos a kezelés. A Veyvondi-kezelés a betegek 95%-ánál (22-ből 20-nál) sikeresnek bizonyult. Összesen 193 vérzéses epizódot jegyeztek fel, és a Veyvondi „kiváló” vagy „jó” minősítést kapott a vérzések mintegy 98%-ának kezelésében.

A második vizsgálatban 15 beteg vett részt, akiknek a műtét – ideértve a nagyobb műtéti beavatkozásokat, például a térdprotézis-beültetést – alatt bekövetkező vérzés megelőzésére Veyvondi-t adtak. A vizsgálat idején végrehajtott 15 nagyobb, illetve kisebb műtéti beavatkozás esetében a Veyvondi mind a 15 műtétnél kiváló vagy jó minősítést kapott a vérzéses epizódok megelőzésében.

A harmadik vizsgálatot 23, súlyos von Willebrand-betegségben szenvedő beteg részvételével végezték, akik megelőző kezelésként kaptak Veyvondi-t a vérzéses epizódok elkerülésére. A vizsgálat előtt a betegek vagy szükség szerint alkalmazott von Willebrand-faktor kezelést kaptak, és a legutóbbi évben legalább 3, kezelést igénylő spontán vérzéses epizódot tapasztaltak, vagy akiknél legalább 12 hónapon át megelőző jelleggel vérplazmából származó von Willebrand-faktort alkalmaztak. A vérplazmából származó kifejezés azt jelenti, hogy a készítményt humán vérplazmából (a vér folyékony részéből) állították elő.

Annál a 13 betegnél, akiknél korábban szükség szerinti kezelést alkalmaztak, a Veyvondi-val végzett megelőző kezelés körülbelül 92%-kal csökkentette az éves vérzéses epizódok számát a Veyvondi-kezelést megelőző évben tapasztalt átlagos számhoz képest.

Annak a 10 betegnek az esetében, akik a vérzések megelőzése érdekében vérplazmából származó von Willebrand-faktort kaptak, a Veyvondi-val végzett megelőző kezelés az éves vérzéses epizódok számát 45%-kal csökkentette a Veyvondi-ra való átállást megelőző évben tapasztalt átlagos számhoz képest.

Gyermekekkel végzett vizsgálatok

Egy jelenleg is folyó vizsgálatban, amelybe 25 súlyos von Willebrand-betegségben szenvedő gyermeket vontak be, kimutatták, hogy a Veyvondi hatásos volt ezeknél a betegeknél műtéthez nem kapcsolódó vérzéses epizódok kezelésében. A vizsgálatban a Veyvondi-t más kezeléssel nem hasonlították össze.

A vérzéses epizódokat tapasztaló mind a 18 gyermek esetében a Veyvondi-kezelés sikeresnek bizonyult. A kezelés hatásosságát összesen 98 különböző súlyosságú vérzéses epizód esetében értékelték, és minden esetben „kiváló” vagy „jó” minősítést kapott.

Milyen kockázatokkal jár a Veyvondi alkalmazása?

A Veyvondi alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Veyvondi leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás. A Veyvondi-kezelés során az alábbi mellékhatások is előfordulhatnak: túlérzékenységi (allergiás) reakciók, tromboembóliás események (a vérerekben kialakuló vérrögök által okozott problémák), gátlótestek (ellenanyagok) kialakulása a von Willebrand-faktor ellen, ami a gyógyszer hatástalanná válását és a vérzés kontrolljának megszűnését eredményezi.

A Veyvondi nem alkalmazható olyan betegeknek, akiknél allergiás reakciók léptek fel az egér vagy hörcsög eredetű fehérjékkel szemben.

Miért engedélyezték a Veyvondi forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Veyvondi hatásosnak bizonyult a von Willebrand-betegségben szenvedő felnőtteknél jelentkező vérzéses epizódok megelőzésében és kezelésében. A Veyvondi hatásosnak bizonyult a műtéti vérzés megelőzésében és kezelésében is. Gyermeknek a Veyvondi hatásosnak bizonyult műtétéhez nem kapcsolódó vérzéses epizódok kezelésében.

A Veyvondi csak akkor alkalmazható, ha a dezmozpresszin (a von Willebrand-betegség fő kezelése) nem alkalmazható vagy nem elég hatásos. Az Európai Gyógyszerügynökség megjegyezte, hogy bizonytalanságok állnak fenn a vizsgálatokba bevont betegek kis számával és a közvetlen összehasonlító készítmény hiányával kapcsolatban; ezt azonban a betegség alacsony előfordulási aránya miatt elfogadhatónak tartották. A Veyvondi alkalmazásához kapcsolódó mellékhatásokat az ilyen típusú gyógyszerekre jellemzőnek ítélték. Gyermekes esetében a biztonságossági profil hasonló a felnőtteknél megfigyelthez.

Az Ügynökség megállapította, hogy a Veyvondi alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

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

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

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

A Veyvondi-val kapcsolatos egyéb információ

2018. augusztus 31-én a Veyvondi az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Veyvondi-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/veyvondi>.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 12-2025.