



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/95105/2024
EMA/H/C/005517

Voydeya (*danikopán*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Voydeya és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Voydeya-t a paroxizmális nokturnális hemoglobinuria (PNH) kezelésére alkalmazzák felnőtteknél. A PNH olyan betegség, amelyben a vörsejtek túlzott lebomlása vérszegénységet (a vörösvértestek alacsony szintje), trombózist (vérrögképződés az erekben), pánцитopéniát (a vörsejtek alacsony szintje) és sötét vizeletet (a szervezetben az oxigént szállító vörösvörsejtekben található fehérje, a hemoglobin nagy mennyisége miatt) eredményez. A Voydeya-t ravulizumab vagy ekulizumab (a PNH kezelésére alkalmazott egyéb gyógyszerek) kiegészítéseként alkalmazzák olyan betegeknél, akik e kezelések ellenére továbbra is vérszegénységben szenvednek.

Mivel a PNH „ritkának” minősül, ezért a Voydeya-t 2017. december 12-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Voydeya hatóanyaga a danikopán.

Hogyan kell alkalmazni a Voydeya-t?

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a vérrel kapcsolatos rendellenességekben szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező egészségügyi szakembernek kell megkezdenie.

A Voydeya tabletta formájában kapható, amelyet szájon át, naponta háromszor, körülbelül 8 óra eltéréssel kell bevenni.

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

Hogyan fejti ki hatását a Voydeya?

A komplementrendszer az immunrendszer (a szervezet természetes védekezőrendszere) részét képező fehérjék csoportja. A PNH-ban szenvedő betegeknél a komplementrendszer túlzottan aktív, és károsítja a beteg saját vörsejtjeit.



A Voydeya hatóanyaga, a danikopán, a komplementrendszer D-faktornak nevezett fehérjéjét gátolja. A D-faktor gátlásával a Voydeya megakadályozza, hogy a komplement rendszer károsítsa a sejteket, így elősegíti a betegség tüneteinek enyhülését.

Milyen előnyei voltak a Voydeya alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Voydeya-t egy fő vizsgálatban tanulmányozták, amelyben 86, PNH-ban szenvedő beteg vett részt, akiket legalább az előző 6 hónapban ravulizumabbal vagy ekulizumabbal kezeltek, és akik anémiában szenvedtek. A vizsgálatban részt vevő betegek a ravulizumab vagy az ekulizumab mellett Voydeya-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak.

12 heti kezelést követően a Voydeya-t szedő betegek hemoglobinszintje átlagosan 2,81 g/dl-rel növekedett, szemben a placebót szedő betegeknél tapasztalt 0,41 g/dl-es átlagos növekedéssel.

Milyen kockázatokkal jár a Voydeya alkalmazása?

A Voydeya alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Voydeya leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a láz, a fejfájás, a májenzimek szintjének emelkedése (lehetséges májproblémák jele) és végtagfájdalom (karok és lábak).

Hatásmechanizmusa miatt a Voydeya növelheti a fertőzések kockázatát. A Voydeya nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknél a *Neisseria meningitidis* baktérium által okozott fertőzésben szenvednek, illetve akiket nem oltottak be a közelmúltban a betegség ellen, kivéve, ha a vakcinációt követő 2 hétig antibiotikum-kezelésben részesülnek a fertőzés megelőzése érdekében.

Miért engedélyezték a Voydeya forgalomba hozatalát az EU-ban?

A ravulizumab vagy ekulizumab kiegészítéseként a Voydeya hatásosnak bizonyult a PNH-ban szenvedő betegek vérszegénységének enyhítésében, amit a hemoglobinszint kezelés megkezdése utáni növekedése mutatott. A Voydeya biztonságossága annak ellenére is kezelhetőnek tekinthető, hogy a gyógyszert szedő betegeknél nőtt a mellékhatások előfordulása (de azok súlyossága nem). Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Voydeya alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

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

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

A Voydeya-val kapcsolatos egyéb információ

–án/-én a Voydeya az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Voydeya-val kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voydeya