



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanacogene elaparovvec*)

Sintesi di Durveqtix e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Durveqtix e per cosa si usa?

Durveqtix è un medicinale usato per il trattamento di adulti affetti da emofilia B grave o moderatamente grave, un disturbo emorragico ereditario causato dalla mancanza del fattore IX (una proteina necessaria alla coagulazione al fine di arrestare il sanguinamento). È usato in adulti che non hanno sviluppato inibitori (proteine prodotte dalle difese naturali dell'organismo) contro il fattore IX e che non hanno anticorpi contro il virus contenuto nel medicinale (vedere paragrafo sul funzionamento del medicinale).

Durveqtix contiene il principio attivo fidanacogene elaparovvec ed è un tipo di medicinale per terapia avanzata denominato "prodotto di terapia genica", che agisce introducendo geni nell'organismo.

Come si usa Durveqtix?

Durveqtix può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere somministrato da un medico esperto nel trattamento dell'emofilia e in una struttura qualificata attrezzata per trattare tempestivamente eventuali reazioni correlate all'infusione.

Durveqtix viene somministrato una volta, sotto forma di infusione singola (flebo) in vena della durata di circa un'ora. La dose dipende dal peso del paziente.

Per maggiori informazioni sull'uso di Durveqtix, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Durveqtix?

I pazienti affetti da emofilia B presentano mutazioni (alterazioni) in un gene di cui l'organismo ha bisogno per produrre la proteina di coagulazione IX, con conseguente riduzione o assenza di attività del fattore IX. Senza una quantità sufficiente di fattore IX, il sangue non è in grado di coagulare adeguatamente per controllare l'emorragia.

Il principio attivo di Durveqtix, fidanacogene elaparovvec, si basa su un virus che è stato modificato in modo da contenere una copia del gene responsabile della produzione del fattore IX. Quando viene somministrato al paziente il virus trasporta il gene del fattore IX nelle cellule epatiche, consentendo loro di produrre il fattore IX mancante e quindi di ridurre gli episodi di sanguinamento.

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



Il tipo di virus utilizzato in questo medicinale (sierotipo del virus adeno-associato Rh74) non provoca malattie nell'uomo.

Quali benefici di Durveqtix sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale condotto su 45 uomini affetti da emofilia B grave o moderatamente grave ha riscontrato che Durveqtix è più efficace della normale terapia sostitutiva del fattore IX preventivo nel ridurre il numero di sanguinamenti.

Lo studio ha confrontato il numero di episodi di sanguinamento in pazienti sottoposti a regolare terapia sostitutiva con fattore IX preventivo durante un periodo di 6 mesi prima della somministrazione di Durveqtix con il numero di episodi di sanguinamento vissuti in un periodo di 1 anno a partire da tre mesi dopo la somministrazione di Durveqtix. I dati hanno mostrato che Durveqtix era efficace nell'aumentare i livelli di fattore IX e nel ridurre il tasso di sanguinamento annualizzato da 4,50 a 1,44 sanguinamenti all'anno. Circa il 60 % dei pazienti (27 su 45) non ha riscontrato sanguinamenti per almeno due anni dopo il trattamento con Durveqtix.

Quali sono i rischi associati a Durveqtix?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Durveqtix, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Durveqtix (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono un aumento dei livelli di determinati enzimi epatici (transaminasi).

Durveqtix non deve essere somministrato a soggetti ipersensibili (allergici) a uno qualsiasi dei suoi ingredienti, con un'infezione attiva, ossia un'infezione acuta (a breve termine) o cronica (a lungo termine) non controllata da medicinali, o che presentano fibrosi epatica o cirrosi (cicatizzazione del fegato) in stadio avanzato.

Perché Durveqtix è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'approvazione, la maggior parte delle opzioni terapeutiche per i pazienti affetti da emofilia B grave comportava un trattamento frequente per tutta la vita con la terapia sostitutiva del fattore IX. Durveqtix, somministrato come singola infusione, si è dimostrato efficace nella prevenzione del sanguinamento per un periodo di almeno 2 anni, consentendo così alla maggior parte dei pazienti di interrompere il trattamento con la terapia sostitutiva preventiva del fattore IX. È stato tuttavia osservato che alcuni pazienti dello studio principale hanno dovuto riprendere la terapia preventiva con il fattore IX perché Durveqtix non si è rivelato sufficientemente efficace per loro. Inoltre, vi sono alcune incertezze riguardo alla durata dei benefici di Durveqtix. Il profilo di sicurezza di Durveqtix è stato considerato accettabile.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Durveqtix sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Durveqtix ha ottenuto un'autorizzazione subordinata a condizioni. Questo significa che è stato autorizzato sulla base di dati meno esaustivi di quelli normalmente necessari, poiché risponde a un'esigenza medica non soddisfatta. L'Agenzia ritiene che i benefici derivanti dalla disponibilità anticipata del medicinale siano superiori ai rischi associati al suo utilizzo in attesa di ulteriori prove.

La ditta deve fornire ulteriori dati su Durveqtix. Deve presentare dati a lungo termine sull'efficacia e la sicurezza del medicinale tratti da studi in corso. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Durveqtix?

Oltre ai dati richiesti nell'ambito dell'autorizzazione all'immissione in commercio subordinata a condizioni, la ditta che commercializza Durveqtix fornirà anche i dati di uno studio basato su un registro condotto su pazienti trattati con il medicinale per studiarne la sicurezza e l'efficacia a lungo termine, nonché i dati provenienti da uno studio a lungo termine.

La ditta fornirà materiale informativo ai pazienti o alle persone che li assistono e agli operatori sanitari contenente informazioni sui benefici, sui rischi e sulle incertezze sugli effetti a lungo termine, nonché sulla sicurezza del medicinale. Ai pazienti deve inoltre essere fornita una scheda atta a informare gli operatori sanitari del trattamento con Durveqtix.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Durveqtix sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Durveqtix sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Durveqtix sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Durveqtix

Ulteriori informazioni su Durveqtix sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.