



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Durveqtix (*fidanakogenas elaparvovekas*)

Durveqtix apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

### Kas yra Durveqtix ir kam jis vartojamas?

Durveqtix – tai vaistas, kuriuo gydomi suaugusieji, sergantys sunkia ir vidutinio sunkumo hemofilija B – paveldimu kraujavimo sutrikimu, kurį sukelia IX faktoriaus (baltymo, kurio reikia, kad susidarytų kraujo krešuliai ir būtų sustabdomas kraujavimas) trūkumas. Jis skiriamas suaugusiesiems, kurių organizme neišsivystė IX faktorių veikiantys inhibitoriai (organizmo natūralios apsaugos sistemos pagaminti baltymai) ir kurių organizme nėra šio vaisto sudėtyje esančio viruso antikūnų (žr. skyrių apie vaisto veikimą).

Durveqtix sudėtyje yra veikliosios medžiagos fidanakogeno elaparvoveko ir tai yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis genų terapijos preparatas. Tai vaistai, kurie perneša genus į organizmą.

### Kaip vartoti Durveqtix?

Durveqtix galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydomą Durveqtix turi skirti gydytojas, turintis hemofilijos gydymo patirties, specialiai pritaikytose patalpose, kur galima nedelsiant teikti pagalbą, jei infuzija sukeltų organizmo reakcijas.

Durveqtix skiriamas vieną kartą, atliekant vieną maždaug valandos trukmės infuziją (sulašinant) į veną. Vaisto dozė priklauso nuo paciento kūno svorio.

Daugiau informacijos apie Durveqtix vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

### Kaip veikia Durveqtix?

Hemofilija B sergančių pacientų organizme yra geno, kurio reikia, kad organizme susidarytų krešėjimo baltymo faktorius IX, mutacijų (pakitimų), todėl faktorius IX arba veikia silpnai, arba neveikia iš viso. Trūkstant IX faktoriaus, kraujas negali tinkamai krešėti, todėl neužkertamas kelias kraujavimui.

Veiklioji Durveqtix medžiaga fidanakogenas elaparvovekas sudarytas iš viruso, kuris buvo modifikuotas, į jį įterpiant geno, atsakingo už IX faktoriaus gamybą, kopiją. Sulašintas pacientui virusas perneša IX faktoriaus geną į kepenų ląsteles, kad jos galėtų gaminti trūkstamą IX faktorių ir taip sumažinti kraujavimo epizodų skaičių.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Šiame vaiste naudojamas virusas (Rh74 serotipo adenoasocijuotas virusas) žmonėms ligos nesukelia.

## **Kokia Durveqtix nauda nustatyta tyrimų metu?**

Atlikus pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 45 sunkia arba vidutinio sunkumo hemofilija B sergantys vyrai, nustatyta, kad Durveqtix veiksmingiau už nuolatinę prevencinę IX faktoriaus pakaitinę terapiją sumažina kraujavimo epizodų skaičių.

Tyrimo buvo lyginamas kraujavimo epizodų, kurie pacientams pasireiškė 6 mėnesius taikant nuolatinę prevencinę IX faktoriaus pakaitinę terapiją prieš pradedant vartoti Durveqtix, ir kraujavimo epizodų, kurie jiems pasireiškė per 1 metų laikotarpį, prasidedantį praėjus trims mėnesiams nuo Durveqtix vartojimo pradžios, skaičius. Duomenys parodė, kad Durveqtix veiksmingai didina IX faktoriaus kiekį – vaistas sumažino metinį kraujavimo dažnį nuo 4,50 iki 1,44 kraujavimo epizodų per metus. Apie 60 proc. (27 iš 45) pacientų bent dvejus metus po gydymo Durveqtix nekraujavo.

## **Kokia rizika susijusi su Durveqtix vartojimu?**

Išsamų visų Durveqtix šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Durveqtix šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra padidėjęs tam tikrų kepenų fermentų (transaminazės) kiekis.

Durveqtix negalima vartoti esant padidėjusiam jautrumui (alergijai) bent vienai iš jo sudedamųjų dalių, pacientams, sergantiems aktyvia infekcija, kuri yra ūmi (trumpalaikė) arba lėtinė (ilgalaikė) ir kurios negalima kontroliuoti vaistais, arba pacientams, sergantiems pažengusia kepenų fibroze arba ciroze (kepenų randėjimu).

## **Kodėl Durveqtix buvo registruotas ES?**

Tuo metu, kai vaistas buvo patvirtintas, dauguma sunkia hemofilija B sergančių pacientų gydymo galimybių buvo dažnas visą gyvenimą trunkantis gydymas taikant pakaitinę IX faktoriaus terapiją. Nustatyta, kad Durveqtix, vartojamas kaip viena infuzija, veiksmingai užkerta kelią kraujavimui bent dvejus metus, todėl dauguma pacientų galėjo nutraukti gydymą prevencine IX faktoriaus pakaitine terapija. Vis dėlto, atkreiptas dėmesys į tai, kad kai kuriems pagrindiniame tyrimo dalyvavusiems pacientams reikėjo vėl pradėti taikyti prevencinę IX faktoriaus terapiją, nes Durveqtix jiems buvo nepakankamai veiksmingas. Be to, vis dar tiksliai nežinoma, kiek laiko Durveqtix naudingas. Durveqtix saugumo duomenys laikyti priimtinais.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Durveqtix nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Durveqtix registruotas sąlyginiu būdu. Tai reiškia, kad vaistas buvo registruotas remiantis mažiau išsamiais duomenimis, nei paprastai reikalaujama, nes jis patenkina nepatenkintą medicininį poreikį. Agentūra mano, kad greičiau prieinamo vaisto nauda yra didesnė už bet kokią jo vartojimo riziką, laukiant papildomų įrodymų.

Bendrovė turi pateikti daugiau duomenų apie Durveqtix. Ji turi pateikti šiuo metu vykdomų tyrimų metu surinktus ilgalaikius duomenis apie vaisto veiksmingumą ir saugumą. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją.

## **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Durveqtix vartojimą?**

Be duomenų, kuriuos prašoma pateikti siekiant gauti sąlyginį registracijos pažymėjimą, Durveqtix prekiaujanti bendrovė taip pat pateiks registro duomenimis grindžiamo tyrimo su šiuo vaistu gydytais pacientais duomenis, kad būtų galima ištirti jo ilgalaikį saugumą ir veiksmingumą, taip pat ilgalaikio tyrimo duomenis.

Bendrovė pacientams arba jų slaugytojams ir sveikatos priežiūros specialistams pateiks mokomąją medžiagą su informacija apie vaisto naudą, keliamą riziką ir neaiškumus, susijusius su ilgalaikiu poveikiu ir saugumu. Pacientams taip pat turi būti išduota paciento kortelė, skirta informuoti sveikatos priežiūros specialistus apie tai, kad pacientai buvo gydomi Durveqtix.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Durveqtix vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Durveqtix vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Durveqtix šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

## **Kita informacija apie Durveqtix**

Daugiau informacijos apie Durveqtix rasite Agentūros tinklalapyje adresu:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix).