



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanakogēna elaparvoveks*)

Durveqtix pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Durveqtix* un kāpēc tās lieto?

Durveqtix ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pieaugušos ar smagu vai vidēji smagu hemofiliju B, iedzimtu asiņošanas traucējumu, ko izraisa IX faktora trūkums (olbaltumviela, kas vajadzīga asins recēšanai, lai pārtrauktu asiņošanu). To lieto pieaugušajiem, kuriem nav izveidojušies IX faktora inhibitori (olbaltumvielas, ko veido organisma dabiskās aizsargspējas) un kuriem nav antivielu pret zāļu sastāvā esošo vīrusu (skatīt sadaļu par to, kā zāles darbojas).

Durveqtix satur aktīvo vielu fidanakogēna elaparvoveku un ir uzlabotas terapijas zāļu veids, ko sauc par "gēnu terapijas zālēm". Tas ir zāļu veids, kas darbojas, piegādājot organismam gēnus.

Kā lieto *Durveqtix*?

Durveqtix var iegādāties tikai pret recepti. Ārstēšana jāveic ārstam ar pieredzi hemofilijas ārstēšanā piemērotā iestādē, kas ir aprīkota, lai nekavējoties ārstētu iespējamās ar infūziju saistītas reakcijas.

Durveqtix ievada vienreiz vienas infūzijas (pilienu) veidā vēnā aptuveni stundas laikā. Deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas.

Papildu informāciju par *Durveqtix* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Durveqtix* darbojas?

Pacientiem ar B hemofiliju ir mutācijas (izmaiņas) gēnā, kas organismam nepieciešams, lai producētu asinsreces olbaltumvielu IX faktoru, kā rezultātā samazinās IX faktora aktivitāte vai arī tā nenotiek. Bez pietiekama IX faktora asinis nevar pienācīgi sarecēt, lai kontrolētu asiņošanu.

Durveqtix aktīvā viela fidanakogēna elaparvoveks ir balstīts uz vīrusu, kas modificēts, lai saturētu par IX faktora ražošanu atbildīgā gēna kopiju. Lietojot pacientam, vīruss pārnes IX faktora gēnu uz aknu šūnām, ļaujot tām radīt trūkstošo IX faktoru un tādējādi ierobežot asiņošanas epizodes.

Šo zāļu sastāvā esošais vīrusa veids (ar adenovīrusu saistītais vīrusa serotips Rh74) cilvēkiem neizraisa slimību.

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



Kādi *Durveqtix* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā, kurā piedalījās 45 vīrieši ar smagu vai vidēji smagu hemofiliju B, tika konstatēts, ka *Durveqtix* ir iedarbīgākas nekā parastā IX profilaktiskā faktora aizstājējterapija asiņošanas gadījumu skaita samazināšanā.

Pētījumā tika salīdzināts asiņošanas epizožu skaits, kas pacientiem radās, lietojot regulāru profilaktisko IX faktora aizstājējterapiju sešu mēnešu periodā pirms *Durveqtix* saņemšanas, ar to skaitu, kas pacientiem radās viena gada periodā, sākot trīs mēnešus pēc *Durveqtix* saņemšanas. Dati liecināja, ka *Durveqtix* ir efektīvas, palielinot IX faktora līmeni, un samazināja ikgadējo asiņošanas biežumu no 4,50 līdz 1,44 asiņošanas gadījumiem gadā. Aptuveni 60 % pacientu (27 no 45) vismaz divus gadus pēc *Durveqtix* terapijas nebija piedzīvojuši asiņošanu.

Kāds risks pastāv, lietojot *Durveqtix*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Durveqtix*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Durveqtix* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir dažu aknu enzīmu (transamināžu) paaugstināts līmenis.

Durveqtix nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret kādu no tās sastāvdaļām, kuriem ir aktīva infekcija, kas ir vai nu akūta (īstermiņa) infekcija vai hroniska (ilgtermiņa) infekcija, ko nekontrolē ar zālēm, vai kuriem ir progresējoša aknu fibroze vai ciroze (aknu rētas).

Kāpēc *Durveqtix* ir reģistrētas ES?

Apstiprināšanas laikā lielākā daļa ārstēšanas iespēju pacientiem ar smagu B hemofiliju ietvēra biežu ārstēšanu mūža garumā ar IX faktora aizstājējterapiju. Tika pierādīts, ka *Durveqtix*, ievadot vienas infūzijas veidā, efektīvi novērš asiņošanu vismaz divu gadu laikā, līdz ar to lielākā daļa pacientu var pārtraukt ārstēšanu ar profilaktisku IX faktora aizstājējterapiju. Tomēr tika atzīmēts, ka dažiem pacientiem pamatpētījumā bija jāatsāk profilaktiskā faktora IX terapija, jo *Durveqtix* viņiem neiedarbojās pietiekami labi. Turklāt pastāv dažas neskaidrības par to, cik ilgi *Durveqtix* ieguvumi saglabājas. *Durveqtix* drošuma profils tika uzskatīts par pieņemamu.

Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Durveqtix*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Durveqtix ir piešķirta atļauja ar nosacījumiem. Tas nozīmē, ka tās ir reģistrētas, pamatojoties uz mazāk visaptverošiem datiem, nekā parasti nepieciešams, jo tās atbilst neapmierinātām medicīniskām vajadzībām. Aģentūra uzskata, ka ieguvums, ja zāles ir pieejamas agrāk, atsvēr visus riskus, kas saistīti ar šo zāļu lietošanu, kamēr tiek gaidīti papildu pierādījumi.

Uzņēmumam ir jāiesniedz papildu dati par *Durveqtix*. Tam jāiesniedz ilgtermiņa dati par zāļu efektivitāti un drošumu no pašlaik notiekošiem pētījumiem. Aģentūra katru gadu pārskatīs visu pieejamo jauno informāciju.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Durveqtix* lietošanu?

Papildus datiem, kas pieprasīti kā daļa no reģistrācijas apliecības ar nosacījumiem, uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Durveqtix*, sniegs arī datus no reģistrā balstīta pētījuma ar pacientiem, kuri ārstēti ar zālēm, lai pētītu to ilgtermiņa drošumu un efektivitāti, kā arī datus no ilgtermiņa pētījuma.

Uzņēmums pacientiem vai viņu aprūpētājiem un veselības aprūpes speciālistiem nodrošinās izglītojošus materiālus ar informāciju par ieguvumiem, riskiem un neskaidrībām attiecībā uz zāļu ilgtermiņa iedarbību un drošumu. Pacienti jāsāņem arī pacienta karte, lai informētu veselības aprūpes speciālistus, ka viņi ir ārstēti ar *Durveqtix*.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Durveqtix* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Durveqtix* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Durveqtix* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Durveqtix*

Sīkāka informācija par *Durveqtix* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.

Zāles vairs nav reģistrētas