



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanacogene elaparvovec*)

Ħarsa ġenerali lejn Durveqtix u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Durveqtix u għal xiex jintuża?

Durveqtix huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' adulti b'emofilja B severa jew moderatament severa, disturb ta' fsada li jintiret ikkawżat min-nuqqas tal-fattur IX (proteina meħtieġa biex tipproduċi l-emboli tad-demem biex twaqqaf il-fsada). Jintuża f'adulti li ma jkunux żviluppaw inibituri (proteini magħmula mid-difiżi naturali tal-ġisem) kontra l-fattur IX u li ma jkollhomx antikorpi kontra l-virus li jinsab fil-mediċina (ara s-sezzjoni dwar kif taħdem il-mediċina).

Durveqtix fih is-sustanza attiva fidanacogene elaparvovec u huwa tip ta' mediċina terapewtika avvanzata msejġha "prodott ta' terapija tal-gene". Dan huwa tip ta' mediċina li taħdem billi tittrasferixxi l-ġeni fil-ġisem.

Kif jintuża Durveqtix?

Durveqtix jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. It-trattament għandu jingħata minn tabib b'esperjenza fit-trattament ta' emofilja u f'faċilità kwalifikata li tkun mgħammra biex tipprovdi trattament fil-pront għal reazzjonijiet possibbli relatati mal-infużjoni.

Durveqtix jingħata darba, bħala infużjoni waħda (dripp) go vina li ddum madwar siegħa. Id-doża tiddependi mill-piż tal-pazjent.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Durveqtix, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Durveqtix?

Pazjenti bl-emofilja B għandhom mutazzjonijiet (bidliet) f'gene li l-ġisem jeħtieġ biex jipproduċi l-proteina ta' koagulazzjoni, il-fattur IX, u dan jirriżulta fi tnaqqis jew nuqqas tal-attività tal-fattur IX. Jekk ma jkunx hemm biżżejjed fattur IX, id-demem ma jkunx jista' jagħqad sew biex jikkontrolla l-fsada.

Is-sustanza attiva f'Durveqtix, il-fidanacogene elaparvovec, hija bbażata fuq virus li ġie modifikat biex jinkludi kopja tal-gene responsabbli għall-produzzjoni tal-fattur IX. Meta jingħata lill-pazjent, il-virus igorr il-gene tal-fattur IX liċ-ċelloli tal-fwied, u jippermettilhom jipproduċu l-fattur IX nieqes u b'hekk jillimita l-episodji ta' fsada.

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



It-tip ta' virus użat f'din il-medicina (is-serotip Rh74 tal-virus adeno-assoċjat) ma jikkawżax mard fil-bniedem.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Durveqtix li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni fuq 45 raġel b'emofilja B severa jew moderatament severa sab li Durveqtix huwa aktar effettiv minn terapija ta' sostituzzjoni tal-fattur IX regolari preventiva biex inaqqas in-numru ta' fsada.

L-istudju qabbel in-numru ta' episodji ta' fsada li l-pazjenti kellhom b'terapija ta' sostituzzjoni tal-fattur IX regolari preventiva matul perjodu ta' 6 xhur qabel ma rċevew Durveqtix man-numru li esperjenzaw fuq perjodu ta' sena li beda tliet xhur wara li nġhataw Durveqtix. Id-*data* wriet li Durveqtix kien effettiv fiż-żieda tal-livelli tal-fattur IX u naqqas ir-rata ta' fsada fis-sena minn 4.50 għal 1.44 fsada fis-sena. Madwar 60 % tal-pazjenti (27 minn 45) ma esperjenzaw l-ebda fsada għal mill-inqas sentejn wara t-trattament b'Durveqtix.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Durveqtix?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Durveqtix, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Durveqtix (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu livelli miżjuda ta' ċerti enzimi tal-fwied (transaminases).

Durveqtix m'għandux jingħata lil persuni li huma ipersensittivi (allergiċi) għal kwalunkwe wieħed mill-ingredjenti tiegħu, li għandhom infezzjoni attiva, li hi ja jew infezzjoni akuta (fit-terminu qasir) jew infezzjoni kronika (fit-tul) li mhijiex ikkontrollata bil-medicini, jew li għandhom fibrozi tal-fwied avanzata jew ċirrozi (ċikatriċi tal-fwied).

Għaliex Durveqtix ġie awtorizzat fl-UE?

Fiż-żmien tal-approvazzjoni, hafna mill-ghażliet ta' trattament għal pazjenti b'emofilja B severa kienu jinvolvu trattament frekwenti tul il-ħajja b'terapija ta' sostituzzjoni tal-fattur IX. Durveqtix, mogħti bħala infużjoni waħda, intwera li huwa effettiv fil-prevenzjoni tal-fsada fuq perjodu ta' mill-inqas sentejn, sabiex b'hekk il-parti l-kbira tal-pazjenti setgħu jwaqqfu t-trattament b'terapija ta' sostituzzjoni tal-fattur IX preventiva. Madankollu ġie nnotat li xi pazjenti fl-istudju ewlieni kellhom jerġgħu jibdwew terapija tal-fattur IX preventiva minħabba li Durveqtix ma kienx qed jaħdem tajjeb biżżejjed għalihom. Barra minn hekk, hemm xi incertezzi dwar it-tul ta' żmien li damu l-benefiċċji ta' Durveqtix. Il-profil tas-sigurtà ta' Durveqtix kien ikkunsidrat aċċettabbli.

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Durveqtix huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Durveqtix ingħata awtorizzazzjoni kundizzjonali. Dan ifisser li ġie awtorizzat abbażi ta' *data* anqas komprensiva minn dik normalment meħtieġa minħabba li jissodisfa hteġa medika mhux issodisfata. L-Aġenzija tqis li l-benefiċċju li l-medicina tkun disponibbli aktar kmieni huwa akbar minn kwalunkwe riskju assoċjat mal-użu tagħha waqt li tistenna aktar evidenza.

Il-kumpanija għandha tipprovdi aktar *data* dwar Durveqtix. Għandha tippreżenta *data* fit-tul dwar l-effikaċja u s-sigurtà tal-medicina minn studji li għadhom għaddejjin. Kull sena, l-Aġenzija se tirrieżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Durveqtix?

Minbarra d-*data* mitluba bħala parti mill-awtorizzazzjoni kundizzjonali għat-tqegħid fis-suq, il-kumpanija li tqiegħed Durveqtix fis-suq se tipprovdi wkoll *data* minn studju bbażat fuq ir-registru b'pazjenti li ngħataw trattament bil-medicina biex jistudja s-sigurtà u l-effikaċja tagħha fit-tul kif ukoll *data* minn studju fit-tul.

Il-kumpanija se tipprovdi materjal edukattiv lill-pazjenti jew lil dawk li jieħdu ħsiebhom u lill-professjonisti tal-kura tas-saħħa b'informazzjoni dwar il-benefiċċji, ir-riskji u l-inċertezzi dwar l-effetti fit-tul u s-sigurtà tal-medicina. Il-pazjenti għandhom jingħataw ukoll kard tal-pazjenti sabiex jinfurmaw lill-professjonisti tal-kura tas-saħħa li huma ngħataw trattament b'Durveqtix.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Durveqtix.

Bhal fil-każ tal-medicini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Durveqtix hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Durveqtix huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Durveqtix

Aktar informazzjoni dwar Durveqtix tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.