



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672439/2022  
EMA/H/C/005830

## Roctavian (*valoctocogene roxaparvovec*)

Ħarsa ġenerali lejn Roctavian u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Roctavian u għal xiex jintuża?

Roctavian huwa mediċina għall-kura ta' emofilja A severa, disturb ta' emorraġija li jintiret ikkawżat min-nuqqas ta' proteina ta' koagulazzjoni magħrufa bħala fattur VIII. Jintuża f'adulti li ma għandhomx inibituri (antikorpi) kontra l-fattur VIII u li ma għandhomx antikorpi kontra s-serotip 5 tal-virus assoċjat ma' adeno (AAV5).

Roctavian fih is-sustanza attiva valoctocogene roxaparvovec u huwa tip ta' mediċina terapewtika avvanzata msejġha "prodott ta' terapija tal-ġeni". Dan huwa tip ta' mediċina li taħdem billi tittrasferixxi ġeni fil-ġisem.

L-emofilja A hija rari, u Roctavian ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fil-21 ta' Marzu 2016. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab hawn: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622).

### Kif jintuża Roctavian?

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda taħt is-supervizzjoni ta' tabib esperjenzat fil-kura ta' emofilja jew disturbi ta' emorraġija. Il-mediċina għandha tingħata f'faċilità mgħammra biex tikkura minnufih reazzjonijiet relatati mal-infużjoni.

Roctavian jingħata bħala infużjoni waħda (dripp) ġo vina tul għadd ta' sigħat. Id-doża tiddependi mill-piż tal-ġisem tal-pazjent. Il-pazjenti jistgħu jingħataw mediċini oħra biex inaqqsu r-riskju ta' reazzjonijiet relatati mal-infużjoni.

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

### Kif jaħdem Roctavian?

Roctavian huwa magħmul minn virus (AAV5) li ġie modifikat biex ikun fih il-ġene għall-fattur VIII, li huwa nieqes f'pazjenti bl-emofilja A. Wara li jingħata lill-pazjent, il-virus huwa mistenni li jgħorr il-ġene tal-fattur VIII fiċ-ċelloli tal-fwied, u dan jippermettilhom jipproduċu l-fattur VIII nieqes għal perjodu twil. Dan huwa mistenni li jikkontrolla d-disturb tal-emorraġija.

It-tip ta' virus użat f'din il-mediċina (virus assoċjat mal-adeno) ma jikkawżax mard fil-bnedmin.

**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



## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Roctavian li ħarġu mill-istudji?**

Studju ewlieni li involva 134 pazjent raġel adult b'emofilja A severa sab li Roctavian kien effettiv biex iżid il-livell tal-attività tal-fattur VIII u li din iż-żieda kienet sostnuta għal mill-inqas sentejn. Wara 104 ġimgħat li rċevew doża waħda tal-medicina, 75.4 % tal-pazjenti kellhom livell medju ta' attività tal-fattur VIII ta' mill-inqas 5 unitajiet internazzjonali għal kull decilitru (IU/dL), li huwa kejl ta' emofilja ħafifa. Barra minn hekk, in-numru annwali ta' episodji ta' emorraġija naqas b'85.5 % u l-ħtieġa għal kura ta' sostituzzjoni addizzjonali tal-fattur VIII naqset b'97.5 %.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Roctavian?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Roctavian (li jistgħu jaffettwaw aktar minn 3 persuni minn kull 10) huma żieda fil-livelli tal-enzimi tal-fwied alanina aminotransferaži u aspartatamminotransferaži (sinjali ta' problemi possibbli tal-fwied), żieda fil-livelli tal-enzima lattatdejdrogenaži (sinjal ta' ħsara possibbli fit-tessut), nawżja (tħossok ma tiflaħx) u wġiġh ta' ras. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji ta' Roctavian, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Roctavian m'għandux jingħata lil persuni li huma ipersensittivi (allergici) għal kwalunkwe wieħed mill-ingredjenti tiegħu, jew li għandhom infezzjoni attiva jew kronika (fit-tul) li mhijiex ikkontrollata bil-medicini jew fibrozi tal-fwied sinifikanti jew ċirrozi tal-fwied (ċikatriċi tal-fwied).

## **Għaliex Roctavian ġie awtorizzat fl-UE?**

Pazjenti bl-emofilja A jeħtieġu kura tul il-ħajja b'injezzjoni waħda jew aktar kull ġimgħa jew xahar sabiex jissostitwixxu jew jimitaw il-fattur VIII nieqes. Roctavian intwera li huwa effettiv biex iżid il-livell tal-attività tal-fattur VIII f'pazjenti b'emofilja A, u din iż-żieda hija sostnuta għal mill-inqas sentejn. L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini kkunsidrat ukoll li, peress li Roctavian jingħata bħala infużjoni waħda, dan inaqqas il-piż tal-kura għal pazjenti b'emofilja A severa għal mill-inqas sentejn. Għalkemm id-*data* dwar is-sigurtà fit-tul hija limitata, il-profil tas-sigurtà tqies aċċettabbli.

Roctavian ingħata "awtorizzazzjoni kkundizzjonata". Dan ifisser li l-Aġenzija ddecidiet li l-benefiċċji ta' Roctavian huma akbar mir-riskji tiegħu, iżda l-kumpanija se jkollha tipprovdi evidenza addizzjonali wara l-awtorizzazzjoni.

L-awtorizzazzjoni kkundizzjonata tingħata fuq il-baži ta' *data* inqas komprensiva minn dik li normalment tkun meħtieġa. Din tingħata għal medicini li jissodisfaw ħtieġa medika mhux issodisfata biex jikkuraw mard serju u meta l-benefiċċji li jkun hemm minnhom disponibbli aktar kmieni jkunu akbar minn kwalunkwe riskju assoċjat mal-użu tal-medicini waqt l-istennija għal aktar evidenza. Kull sena, l-Aġenzija sejra tirreżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli sakemm id-*data* ssir komprensiva u din il-ħarsa generali tiġi aġġornata kif meħtieġ.

## **Liema informazzjoni għadha mistennija għal Roctavian?**

Minħabba li Roctavian ingħata awtorizzazzjoni kkundizzjonata, il-kumpanija li tqiegħed Roctavian fis-suq se tipprovdi *data* addizzjonali minn studji li għadhom għaddejjin dwar is-sigurtà u l-effikaċja fit-tul tal-medicina f'pazjenti b'emofilja A severa u se twettaq studju dwar meta għandha tinbeda l-kura bl-añjar mod bil-kortikosteroidi f'dawn il-pazjenti biex jiġu evitati problemi fil-fwied. Il-kumpanija se tipprovdi wkoll *data* minn registru ta' pazjenti kkurati b'Roctavian biex tistudja s-sigurtà u l-effikaċja fit-tul tiegħu.

## **X'mizuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Roctavian?**

Il-kumpanija li tqiegħed Roctavian fis-suq se tipprovdi lill-pazjenti u lill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa materjal edukattiv li jispjega l-benefiċċji, ir-riskji u l-inċertezzi dwar l-effetti fit-tul tal-medicina. Il-pazjenti se jingħataw ukoll kard tal-pazjenti biex jinfurmaw lill-professjonisti tal-kura tas-saħħa li rċevew Roctavian għall-kura tal-emofilja A.

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

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

### **Informazzjoni oħra dwar Roctavian**

Aktar informazzjoni dwar Roctavian tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian).