



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanacogene elaparvovec*)

Een overzicht van Durveqtix en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Durveqtix en wanneer wordt het voorgeschreven?

Durveqtix is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met ernstige en matig ernstige hemofilie B, een erfelijke bloedingsstoornis die wordt veroorzaakt door een tekort aan factor IX (een eiwit dat nodig is om bloedstolsels te produceren om bloedingen te stoppen). Het wordt gebruikt bij volwassenen die geen remmers (eiwitten die door de natuurlijke afweer van het lichaam worden aangemaakt) tegen factor IX hebben ontwikkeld en die geen antilichamen hebben tegen het virus dat deel uitmaakt van het geneesmiddel (zie de rubriek over hoe het geneesmiddel werkt).

Durveqtix bevat de werkzame stof fidanacogene elaparvovec en is een zogeheten 'gentherapeutisch middel', een soort geneesmiddel voor geavanceerde therapie. Dit type geneesmiddel werkt door genen aan het lichaam toe te dienen.

Hoe wordt Durveqtix gebruikt?

Durveqtix is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. Het middel moet door een arts die ervaring heeft met de behandeling van hemofilie worden toegediend in een daartoe geschikte gezondheidsinstelling die over de nodige voorzieningen beschikt om mogelijke infusiegerelateerde reacties onmiddellijk te kunnen behandelen.

Durveqtix wordt eenmaal toegediend als een enkelvoudige infusie (indruppeling) in een ader gedurende ongeveer een uur. De dosis is afhankelijk van het gewicht van de patiënt.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Durveqtix.

Hoe werkt Durveqtix?

Patiënten met hemofilie B hebben mutaties (veranderingen) in een gen dat het lichaam nodig heeft om de stollingsfactor IX aan te maken, wat leidt tot een tekort of volledig gebrek aan factor IX-activiteit. Zonder voldoende factor IX kan het bloed niet goed stollen om de bloeding te beperken.

De werkzame stof in Durveqtix, fidanacogene elaparvovec, is gebaseerd op een virus dat zodanig is gemodificeerd dat het een kopie bevat van het gen dat verantwoordelijk is voor de productie van

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



factor IX. Bij toediening aan de patiënt transporteert het virus het factor IX-gen naar de levercellen, waardoor deze de ontbrekende factor IX kunnen produceren en zo bloedingsepisoden kunnen beperken.

Het in dit geneesmiddel gebruikte type virus (adeno-geassocieerd virus serotype Rh74) veroorzaakt bij de mens geen ziekte.

Welke voordelen bleek Durveqtix tijdens de studies te hebben?

Uit een hoofdstudie onder 45 mannen met ernstige of matig ernstige hemofilie B bleek dat Durveqtix werkzaam is dan reguliere preventieve factor IX-vervangende therapie bij het verminderen van het aantal bloedingen.

In de studie werd het aantal bloedingsepisoden dat patiënten tijdens een reguliere preventieve factor IX-vervangende therapie in de 6 maanden voorafgaand aan de toediening van Durveqtix hadden gehad, vergeleken met het aantal episoden dat zij gedurende een periode van 1 jaar hadden, gerekend vanaf drie maanden na de toediening van Durveqtix. Uit de gegevens bleek dat Durveqtix werkzaam was bij het verhogen van de factor IX-concentratie en bij het verlagen van het jaarlijkse aantal bloedingen van 4,50 tot 1,44 bloedingen per jaar. Ongeveer 60 % van de patiënten (27 van de 45) ondervond gedurende ten minste 2 jaar na behandeling met Durveqtix geen bloedingen.

Welke risico's houdt het gebruik van Durveqtix in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Durveqtix.

De meest voorkomende bijwerkingen van Durveqtix (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn verhoogde concentraties van bepaalde leverenzymen (transaminasen).

Durveqtix mag niet worden toegediend aan mensen die overgevoelig (allergisch) zijn voor een van de bestanddelen van het middel, die een actieve infectie hebben, d.w.z. een acute (kortdurende) infectie of een chronische (langdurige) infectie die niet door geneesmiddelen onder controle kan worden gehouden, of die gevorderde leverfibrose of -cirrose (littekenvorming in de lever) hebben.

Waarom is Durveqtix geregistreerd in de EU?

Ten tijde van de goedkeuring bestonden de meeste behandelingsopties voor patiënten met ernstige hemofilie B uit levenslange frequente behandeling met een factor IX-vervangende therapie. Durveqtix, toegediend als eenvoudige infusie, bleek werkzaam te zijn bij het voorkomen van bloedingen gedurende een periode van ten minste 2 jaar, waardoor de meeste patiënten de behandeling met preventieve factor IX-vervangende therapie konden stopzetten. Er werd echter opgemerkt dat sommige patiënten in de hoofdstudie de preventieve factor IX-therapie moesten hervatten omdat Durveqtix bij hen niet goed genoeg werkte. Daarnaast bestaat er enige onzekerheid over hoe lang de baten van Durveqtix aanhouden. Het veiligheidsprofiel van Durveqtix werd aanvaardbaar geacht.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Durveqtix groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Aan Durveqtix is voorwaardelijke registratie verleend. Dit betekent dat het middel is goedgekeurd op basis van minder volledige gegevens dan gewoonlijk, omdat het voldoet aan een on vervulde medische behoefte. Het Geneesmiddelenbureau is van mening dat het voordeel van het in een vroeger stadium

verkrijgbaar zijn van het geneesmiddel groter is dan de risico's die gepaard gaan met het gebruik ervan in afwachting van verder bewijs.

Het bedrijf moet nadere gegevens over Durveqtix verstrekken. Het moet langetermijngegevens over de werkzaamheid en veiligheid van het geneesmiddel uit lopende onderzoeken indienen. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Durveqtix te waarborgen?

Naast de gegevens waarom is verzocht in het kader van de voorwaardelijke handelsvergunning, zal het bedrijf dat Durveqtix in de handel brengt ook gegevens verstrekken van een op registers gebaseerde studie betreffende met het geneesmiddel behandelde patiënten om de veiligheid en werkzaamheid op lange termijn te onderzoeken, alsook gegevens uit een langetermijnstudie.

Het bedrijf zal patiënten of hun verzorgers en professionele zorgverleners voorlichtingsmateriaal verstrekken met informatie over de voordelen, risico's en onzekerheden met betrekking tot de langetermijneffecten en de veiligheid van het geneesmiddel. Patiënten moeten ook een patiëntenkaart krijgen om professionele zorgverleners erop te wijzen dat zij met Durveqtix zijn behandeld.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Durveqtix zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Durveqtix continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Durveqtix worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Durveqtix

Meer informatie over Durveqtix is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.