



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanakogen elaparwówek*)

Przegląd wiedzy na temat leku Durveqtix i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Durveqtix i w jakim celu się go stosuje

Durveqtix jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych z ciężką i umiarkowaną postacią hemofilii B – dziedzicznym zaburzeniem krzepnięcia krwi wynikającym z niedoboru czynnika IX (białka potrzebnego do wytwarzania skrzepów krwi w celu zatrzymania krwawienia). Lek stosuje się u osób dorosłych, u których nie wytworzyły się inhibitory (białka wytwarzane przez naturalne siły obronne organizmu) przeciwko czynnikowi IX oraz u których nie występują przeciwciała przeciwko wirusowi zawartemu w leku (zob. punkt dotyczący działania leku).

Substancją czynną zawartą w leku Durveqtix jest fidanakogen elaparwówek. Jest to rodzaj leku do zaawansowanego leczenia, zwany „produktem terapii genowej”. Jest to rodzaj leku, którego działanie polega na wprowadzaniu genów do organizmu.

Jak stosować lek Durveqtix

Lek wydawany na receptę. Leczenie musi być podawane przez lekarza mającego doświadczenie w leczeniu hemofilii. Leczenie należy prowadzić w wyspecjalizowanej placówce, która jest wyposażona w urządzenia do szybkiego leczenia możliwych reakcji związanych z wlewem.

Lek Durveqtix podaje się jednorazowo w postaci pojedynczego wlewu (kroplówki) do żyły trwającego około godziny. Dawka zależy od masy ciała pacjenta.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Durveqtix znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Durveqtix

U pacjentów z hemofilią B występują mutacje (zmiany) w genie, którego organizm potrzebuje do wytworzenia białka odpowiedzialnego za krzepnięcie krwi (czynnika IX), co prowadzi do zmniejszenia stężenia lub braku aktywności czynnika IX. Brak wystarczającej ilości czynnika IX sprawia, że krew nie jest w stanie prawidłowo krzepnąć w celu kontrolowania krwawienia.

Substancja czynna leku Durveqtix, fidanakogen elaparwówek, jest oparta na wirusie, który został zmodyfikowany w taki sposób, aby zawierał kopię genu odpowiedzialnego za wytwarzanie czynnika IX.

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



Po podaniu pacjentowi wirus przenosi gen czynnika IX do komórek wątroby, co umożliwia im wytworzenie brakującego czynnika IX i tym samym zmniejszenie liczby epizodów krwawienia.

Typ wirusa stosowanego w tym leku (wirus związany z adenowirusem serotypu Rh74) nie wywołuje choroby u ludzi.

Korzyści ze stosowania leku Durveqtix wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 45 mężczyzn z ciężką lub umiarkowaną ciężką postacią hemofilii B wykazano, że lek Durveqtix jest skuteczniejszy w zmniejszaniu liczby krwawień niż w regularnej profilaktycznej terapii zastępczej czynnikiem IX.

W badaniu porównano liczbę epizodów krwawienia występujących u pacjentów poddanych regularnej profilaktycznej terapii zastępczej czynnikiem IX w okresie 6 miesięcy przed przyjęciem leku Durveqtix z liczbą epizodów krwawienia występujących w okresie 1 roku, liczoną począwszy od 3 miesięcy po otrzymaniu leku Durveqtix. Dane wykazały, że lek Durveqtix skutecznie zwiększał stężenie czynnika IX i zmniejszał roczny wskaźnik krwawień z 4,50 do 1,44 krwawienia rocznie. U około 60% (27 z 45) pacjentów nie wystąpiło krwawienie przez co najmniej 2 lata po zastosowaniu leku Durveqtix.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Durveqtix

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Durveqtix znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Durveqtix (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 10 pacjentów) obejmują zwiększone stężenie niektórych enzymów wątrobowych (transaminazy).

Leku Durveqtix nie wolno podawać osobom, u których występuje nadwrażliwość (alergia) na którykolwiek ze składników leku, u których występuje czynne zakażenie w postaci ostrego (krótkotrwałego) lub przewlekłego (długotrwałego) zakażenia, które nie jest kontrolowane przez zastosowanie leków, lub u których występuje zaawansowane zwłóknienie wątroby lub marskość wątroby (bliznowacenie wątroby).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Durveqtix w UE

W chwili dopuszczenia do obrotu większość opcji leczenia pacjentów z ciężką postacią hemofilii B obejmowała częste stosowanie terapii zastępczej czynnikiem IX przez całe życie. Wykazano, że lek Durveqtix, podawany w jednorazowym wlewie, skutecznie zapobiega krwawieniom przez okres co najmniej 2 lat, umożliwiając w ten sposób większości pacjentów przerwanie profilaktycznej terapii zastępczej czynnikiem IX. Zauważono jednak, że niektórzy pacjenci biorący udział w badaniu głównym musieli wznowić profilaktyczną terapię zastępczą czynnikiem IX, ponieważ lek Durveqtix w ich przypadku nie działał wystarczająco skutecznie. Ponadto istnieją pewne wątpliwości co do tego, jak długo korzyści ze stosowania leku Durveqtix się utrzymują. Profil bezpieczeństwa leku Durveqtix uznano za możliwy do zaakceptowania.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Durveqtix przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Durveqtix uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu. Oznacza to, że lek został dopuszczony do obrotu na podstawie mniej kompleksowych danych niż zwykle wymagane, ponieważ spełnia niezaspokojoną potrzebę medyczną. Agencja uważa, że korzyści wynikające z wcześniejszego

udostępnienia leku przewyższają wszelkie ryzyko związane ze stosowaniem leku w oczekiwaniu na dalsze dowody.

Firma musi dostarczyć kolejne dane dotyczące leku Durveqtix. Firma musi przedstawić długoterminowe dane dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa leku pochodzące z trwających badań. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które staną się dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Durveqtix

Oprócz wymaganych danych w ramach warunkowego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu firma wprowadzająca lek Durveqtix do obrotu dostarczy również dane z badania opartego na rejestrach pacjentów stosujących ten lek w celu zbadania jego długoterminowego bezpieczeństwa stosowania i skuteczności, jak również dane z badania długoterminowego.

Firma udostępni pacjentom lub ich opiekunom oraz personelowi medycznemu materiały edukacyjne zawierające informacje na temat korzyści, ryzyka i wątpliwości związanych z długoterminowym działaniem i bezpieczeństwem leku. Pacjenci muszą także otrzymać kartę pacjenta zawierającą informacje dla personelu medycznego o przyjmowaniu leku Durveqtix.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Durveqtix w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Durveqtix są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Durveqtix są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Durveqtix

Dalsze informacje dotyczące leku Durveqtix znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.