



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/478238/2023
EMA/H/C/004454

Veyvondi (*wonikog alfa*)

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

Czym jest lek Veyvondi i w jakim celu się go stosuje

Veyvondi jest lekiem stosowanym w celu kontrolowania krwawienia u osób dorosłych z chorobą von Willebranda (wrodzonym zaburzeniem krzepnięcia), u których leczenie desmopresyną (innym lekiem zatrzymującym krwawienie) jest niemożliwe lub nieskuteczne.

Lek ten jest stosowany w profilaktyce i leczeniu epizodów krwawienia, również podczas zabiegów operacyjnych.

Substancją czynną zawartą w leku Veyvondi jest wonikog alfa.

Jak stosować lek Veyvondi

Lek wydawany na receptę. Stosowanie leku Veyvondi powinien nadzorować lekarz z doświadczeniem w opiece nad pacjentami z zaburzeniami krzepnięcia.

Lek Veyvondi podaje się we wstrzyknięciu dożylnym. Dawka leku i częstość wstrzyknięć zależą od tego, czy lek Veyvondi stosuje się podczas zabiegu operacyjnego, czy też w zapobieganiu epizodom krwawienia.

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

Jak działa lek Veyvondi

U pacjentów z chorobą von Willebranda nie występuje czynnik von Willebranda — białko niezbędne do prawidłowego krzepnięcia krwi. W rezultacie u takich osób łatwo dochodzi do krwawienia. Substancja czynna zawarta w leku Veyvondi — wonikog alfa — jest wytwarzana w laboratorium i działa tak samo jak naturalny czynnik von Willebranda. Zastępuje ona brakujące białko, wspomagając proces krzepnięcia krwi i powstrzymując krwawienia.



Korzyści ze stosowania leku Veyvondi wykazane w badaniach

W trzech badaniach głównych z udziałem osób dorosłych z chorobą von Willebranda wykazano skuteczność leku Veyvondi w kontrolowaniu epizodów krwawienia. W badaniach tych nie porównywano leku Veyvondi z żadnym innym leczeniem.

W pierwszym badaniu uczestniczyło 37 pacjentów, którym podawano lek Veyvondi w ramach leczenia epizodów krwawienia. Główne kryterium oceny skuteczności oparto na ocenie działania leku. Skuteczność terapii lekiem Veyvondi stwierdzono u 95% (20 z 22) pacjentów. Zarejestrowano łącznie 193 epizody krwawienia, a działanie leku Veyvondi oceniono jako doskonałe albo dobre w około 98% z nich.

W drugim badaniu uczestniczyło 15 pacjentów, którym lek Veyvondi podawano w celu zapobiegania krwawieniom podczas zabiegów chirurgicznych, w tym rozległych operacji, takich jak endoprotezoplastyka stawu kolanowego. Podczas 15 rozległych i mniejszych zabiegów wykonanych w trakcie badania działanie leku Veyvondi w zapobieganiu epizodom krwawienia oceniono jako doskonałe albo dobre we wszystkich 15 przypadkach.

Trzecie badanie przeprowadzono z udziałem 23 pacjentów z ciężką postacią choroby von Willebranda, którzy otrzymywali lek Veyvondi w ramach profilaktyki epizodów krwawienia. Przed rozpoczęciem badania pacjenci albo stosowali czynnik von Willebranda doraźnie i w ostatnim roku doświadczyli co najmniej 3 samoistnych krwawień wymagających leczenia, albo stosowali osoczipochodny czynnik von Willebranda w ramach profilaktyki od co najmniej 12 miesięcy. Osoczipochodny oznacza, że preparat powstał z osocza ludzkiego (płynnej części krwi).

W przypadku 13 pacjentów, którzy wcześniej stosowali leczenie doraźne, profilaktyczne stosowanie leku Veyvondi obniżyło roczną liczbę krwawień o około 92% w porównaniu ze średnią z roku poprzedzającego leczenie lekiem Veyvondi.

W przypadku 10 pacjentów, którzy przyjmowali osoczipochodny czynnik von Willebranda zapobiegawczo, profilaktyczne stosowanie leku Veyvondi obniżyło roczną liczbę krwawień o 45% w porównaniu ze średnią z roku poprzedzającego zmianę terapii na lek Veyvondi.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Veyvondi

Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Veyvondi znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku Veyvondi (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to ból głowy. W trakcie stosowania leku Veyvondi mogą też wystąpić następujące działania niepożądane: reakcje nadwrażliwości (alergiczne), zdarzenia zakrzepowo-zatorowe (problemy wynikające z powstawania zakrzepów w naczyniach krwionośnych), pojawienie się inhibitorów czynnika von Willebranda (przeciwciał przeciwko temu czynnikowi), powodujących zniesienie działania leku i w konsekwencji utratę kontroli krwawienia.

Leku Veyvondi nie można stosować u pacjentów, którzy wykazywali w przeszłości reakcje alergiczne na białka myszy lub chomika.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Veyvondi w UE

Wykazano, że lek Veyvondi jest skuteczny w profilaktyce i leczeniu epizodów krwawienia u pacjentów z chorobą von Willebranda. Lek był również skuteczny w profilaktyce i leczeniu krwawień związanych z zabiegami chirurgicznymi. Lek Veyvondi należy stosować wyłącznie w przypadku, gdy desmopresyna (podstawowy lek na chorobę von Willebranda) nie może być stosowana lub nie jest wystarczająco

skuteczna. Agencja zwróciła uwagę na wątpliwości związane z niewielką liczbą pacjentów włączonych do badań i brakiem bezpośredniego komparatora, ale ze względu na rzadkość choroby uznano je za akceptowalne. Działania niepożądane leku Veyvondi uznano za typowe dla leku tej klasy.

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

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Veyvondi

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

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

Inne informacje dotyczące leku Veyvondi

Lek Veyvondi otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 31 sierpnia 2018 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Veyvondi znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Data ostatniej aktualizacji: 11.2023.