



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/95105/2024
EMA/H/C/005517

Voydeya (*danikopan*)

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

Czym jest lek Voydeya i w jakim celu się go stosuje

Voydeya to lek stosowany u osób dorosłych w leczeniu nocnej napadowej hemoglobinurii (ang. *paroxysmal nocturnal haemoglobinuria*, PNH) – choroby, w przebiegu której nadmierny rozpad krwinek powoduje niedokrwistość (niski poziom krwinek czerwonych), zakrzepicę (zakrzepy krwi w naczyniach krwionośnych), pancytopenię (niskie stężenie krwinek) i ciemne zabarwienie moczu (w wyniku uwolnienia do moczu dużych ilości hemoglobiny – białka w krwinkach czerwonych transportującego tlen w organizmie). Lek Voydeya stosuje się w skojarzeniu z rawulizumabem lub ekulizumabem (innymi lekami stosowanymi w leczeniu PNH) u pacjentów, którzy nadal cierpią na niedokrwistość pomimo stosowania tych metod leczenia.

Ze względu na to, że PNH jest chorobą rzadko występującą, w dniu 12 grudnia 2017 r. lek Voydeya uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Voydeya jest danikopan.

Jak stosować lek Voydeya

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpocząć pracownik opieki zdrowotnej posiadający doświadczenie w leczeniu pacjentów z zaburzeniami hematologicznymi.

Lek Voydeya jest dostępny w postaci tabletek do przyjmowania doustnego trzy razy na dobę, w odstępie około 8 godzin.

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

Jak działa lek Voydeya

Układ dopełniacza jest zespołem białek, który jest częścią układu odpornościowego (naturalnego systemu obronnego organizmu). U pacjentów z PNH układ dopełniacza jest nadmiernie aktywny i niszczy własne krwinki pacjentów.

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



Substancja czynna leku Voydeya, danikopan, blokuje białko układu dopełniacza zwane czynnikiem D. Blokując czynnik D, lek Voydeya zapobiega uszkodzeniu komórek przez układ dopełniacza, pomagając w ten sposób łagodzić objawy choroby.

Korzyści ze stosowania leku Voydeya wykazane w badaniach

Lek Voydeya oceniano w badaniu głównym z udziałem 86 pacjentów z PNH leczonych rawulizumabem lub ekulizumabem przez co najmniej ostatnie 6 miesięcy, u których występowała niedokrwistość. Pacjenci uczestniczący w badaniu przyjmowali lek Voydeya lub placebo (leczenie pozorowane) jako dodatek do rawulizumabu i ekulizumabu.

Po 12 tygodniach leczenia poziom hemoglobiny u pacjentów przyjmujących lek Voydeya wzrósł średnio o 2,81 g/dl, w porównaniu ze wzrostem średnio o 0,41 g/dl u pacjentów otrzymujących placebo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Voydeya

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Voydeya (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: gorączka, ból głowy, podwyższony poziom enzymów wątrobowych (oznaka możliwych zaburzeń czynności wątroby) oraz ból kończyn (rąk i nóg).

W oparciu o mechanizm działania lek Voydeya może zwiększać ryzyko zakażeń. Leku Voydeya nie wolno stosować u pacjentów z niewyleczonym zakażeniem bakteriami *Neisseria meningitidis* ani u osób, które nie są obecnie zaszczepione przeciw tym bakteriom, chyba że w ciągu 2 tygodni po szczepieniu podano im antybiotyki w celu zapobiegania zakażeniom.

Podstawy dopuszczenia leku Voydeya do obrotu w UE

Wykazano, że lek Voydeya w skojarzeniu z rawulizumabem lub ekulizumabem skutecznie zmniejsza niedokrwistość u pacjentów z PNH, o czym świadczy wzrost poziomu hemoglobiny po rozpoczęciu leczenia. Bezpieczeństwo leku Voydeya uznaje się za możliwe do kontrolowania pomimo zwiększenia częstości występowania działań niepożądanych (ale nie ich nasilenia) u pacjentów przyjmujących lek. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Voydeya przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Voydeya

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Voydeya 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 Voydeya są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Voydeya są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Voydeya

Lek Voydeya otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu ważne w całej UE w dniu

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