



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanacogene elaparovvec*)

Um resumo sobre Durveqtix e por que está autorizado na UE

O que é Durveqtix e para que é utilizado?

Durveqtix é um medicamento utilizado no tratamento de adultos com hemofilia B grave e moderadamente grave, uma doença hemorrágica hereditária causada pela falta de fator IX (uma proteína necessária para produzir coágulos sanguíneos para estancar hemorragias). É utilizado em adultos que não desenvolveram inibidores (proteínas produzidas pelas defesas naturais do organismo) contra o fator IX e que não têm anticorpos contra o vírus contido no medicamento (ver secção sobre o modo de funcionamento do medicamento).

Durveqtix contém a substância ativa fidanacogene elaparovvec e é um tipo de medicamento de terapia avançada denominado «medicamento de terapia genética». Trata-se de um tipo de medicamento com um mecanismo de ação que consiste em transferir genes para o organismo.

Como se utiliza Durveqtix?

Durveqtix só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento deve ser administrado por um médico com experiência no tratamento da hemofilia e num estabelecimento qualificado equipado para o tratamento imediato de possíveis reações relacionadas com a perfusão.

Durveqtix é administrado uma vez, sob a forma de uma perfusão única (administração gota a gota) numa veia, com a duração de cerca de uma hora. A dose a utilizar depende do peso do doente.

Para mais informações sobre a utilização de Durveqtix, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Durveqtix?

Os doentes com hemofilia B têm mutações (alterações) num gene do qual o organismo necessita para produzir a proteína de coagulação fator IX, resultando numa redução ou ausência de atividade do fator IX. Sem fator IX suficiente, o sangue não consegue coagular adequadamente para controlar a hemorragia.

A substância ativa de Durveqtix, fidanacogene elaparovvec, baseia-se num vírus que foi modificado para conter uma cópia do gene responsável pela produção do fator IX. Quando administrado ao



doente, o vírus transportará o gene do fator IX para as células do fígado, permitindo-lhes produzir o fator IX em falta e, desse modo, limitar os episódios hemorrágicos.

O tipo de vírus utilizado neste medicamento (vírus adeno-associado do serotipo Rh74) não causa doença nos seres humanos.

Quais os benefícios demonstrados por Durveqtix durante os estudos?

Um estudo principal que incluiu 45 homens com hemofilia B grave ou moderadamente grave concluiu que Durveqtix é mais eficaz do que a terapêutica regular de substituição do fator IX preventiva na redução do número de hemorragias.

O estudo comparou o número de episódios hemorrágicos que os doentes tiveram com a terapêutica preventiva regular de substituição do fator IX durante um período de 6 meses antes de receberem Durveqtix com o número de episódios que sofreram durante um período de 1 ano, com início três meses após receberem Durveqtix. Os dados mostraram que Durveqtix foi eficaz no aumento dos níveis de fator IX e reduziu a taxa de hemorragia anual de 4,50 para 1,44 hemorragias por ano. Cerca de 60 % dos doentes (27 em 45) não sofreram hemorragias durante, pelo menos, 2 anos após o tratamento com Durveqtix.

Quais são os riscos associados a Durveqtix?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Durveqtix, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Durveqtix (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem o aumento dos níveis de determinadas enzimas hepáticas (transaminases).

Durveqtix é contraindicado em pessoas hipersensíveis (alérgicas) a qualquer um dos seus componentes, em pessoas com uma infeção ativa, uma infeção aguda (de curta duração) ou uma infeção crónica (de longa duração) não controlada por medicamentos, ou com fibrose hepática avançada ou cirrose (reação fibrótica do fígado).

Por que está Durveqtix autorizado na UE?

No momento da aprovação, a maioria das opções de tratamento para doentes com hemofilia B grave envolveu tratamento frequente ao longo da vida com terapia de substituição de fator IX. Durveqtix, administrado numa perfusão única, demonstrou ser eficaz na prevenção de hemorragias durante um período de pelo menos 2 anos, permitindo assim à maioria dos doentes interromper o tratamento com terapêutica preventiva de substituição do fator IX. Observou-se, no entanto, que alguns doentes no estudo principal tiveram de retomar a terapêutica preventiva com fator IX porque o Durveqtix não funcionou suficientemente bem para eles. Além disso, existem algumas incertezas quanto à duração dos benefícios de Durveqtix. O perfil de segurança de Durveqtix foi considerado aceitável.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Durveqtix são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Foi concedida ao Durveqtix uma autorização condicional. Isto significa que o medicamento foi autorizado com base em dados menos completos do que os normalmente exigidos, uma vez que preenche uma necessidade médica por satisfazer. A Agência considera que o benefício de ter o medicamento disponível mais cedo é superior a quaisquer riscos associados à sua utilização enquanto se aguardam mais evidências.

A empresa deve fornecer dados adicionais sobre o Durveqtix. Deve apresentar dados a longo prazo sobre a eficácia e a segurança do medicamento provenientes dos estudos em curso. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Durveqtix?

Para além dos dados solicitados como parte da Autorização de Introdução no Mercado condicional, a empresa que comercializa Durveqtix também fornecerá dados de um estudo baseado em registos com doentes tratados com o medicamento para estudar a sua segurança e eficácia a longo prazo, bem como dados de um estudo a longo prazo.

A empresa fornecerá materiais educacionais aos doentes ou aos seus prestadores de cuidados de saúde, bem como aos profissionais de saúde, com informações sobre os benefícios, os riscos e as incertezas sobre os efeitos a longo prazo e a segurança do medicamento. Os doentes devem também receber um cartão do doente para informar os profissionais de saúde de que foram tratados com Durveqtix.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Durveqtix.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Durveqtix são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Durveqtix são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Durveqtix

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.