



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672442/2022  
EMA/H/C/005830

## Roctavian (*valoctocogene roxaparvovec*)

Um resumo sobre Roctavian e porque está autorizado na UE

### O que é Roctavian e para que é utilizado?

Roctavian é um medicamento para o tratamento da hemofilia A grave, uma doença hemorrágica hereditária causada pela falta de uma proteína de coagulação conhecida como fator VIII. É utilizado em adultos que não têm inibidores (anticorpos) contra o fator VIII e que não têm anticorpos contra o serotipo 5 do vírus adeno-associado (VAA5).

Roctavian contém a substância ativa valoctocogene roxaparvovec 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.

A hemofilia A é uma doença rara, e Roctavian foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 21 de março de 2016. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas aqui: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622).

### Como se utiliza Roctavian?

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado sob a supervisão de um médico com experiência no tratamento da hemofilia ou de distúrbios hemorrágicos. O medicamento deve ser administrado numa instalação equipada para o tratamento imediato de reações relacionadas com a perfusão.

Roctavian é administrado na forma de uma perfusão única (administração gota a gota) numa veia durante várias horas. A dose a utilizar depende do peso corporal do doente. Os doentes podem receber outros medicamentos para reduzir o risco de reações relacionadas com a perfusão.

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

### Como funciona Roctavian?

Roctavian é feito de um vírus (AAV5) que foi modificado para conter o gene do fator VIII, que está em falta nos doentes com hemofilia A. Após a sua administração ao doente, espera-se que o vírus

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



transporte o gene do fator VIII para as células do fígado, permitindo-lhes produzir o fator VIII em falta durante um longo período. Espera-se que isto controle o distúrbio hemorrágico.

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

### **Quais os benefícios demonstrados por Roctavian durante os estudos?**

Um estudo principal que incluiu 134 doentes adultos do sexo masculino com hemofilia A grave concluiu que Roctavian foi eficaz no aumento do nível de atividade do fator VIII e que este aumento se manteve durante pelo menos 2 anos. 104 semanas após receberem uma dose única do medicamento, 75,4 % dos doentes tinham um nível médio de atividade do fator VIII de, pelo menos, 5 unidades internacionais por decilitro (UI/dL), uma medida de hemofilia ligeira. Além disso, o número anual de episódios hemorrágicos diminuiu 85,5 % e a necessidade de tratamento adicional de substituição com fator VIII diminuiu 97,5 %.

### **Quais são os riscos associados a Roctavian?**

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Roctavian (que podem afetar mais de 3 em cada 10 pessoas) são aumento dos níveis das enzimas hepáticas alanina aminotransferase e aspartato aminotransferase (sinais de possíveis problemas hepáticos), aumento dos níveis da enzima lactato desidrogenase (sinal de possíveis lesões nos tecidos), náuseas (sensação de enjoo) e dores de cabeça. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente a Roctavian, consulte o Folheto Informativo.

Roctavian é contraindicado em pessoas hipersensíveis (alérgicas) a qualquer um dos seus componentes, ou que tenham uma infeção ativa ou crónica (de longa duração) não controlada por medicamentos ou por fibrose hepática ou cirrose hepática significativas (cicatrização do fígado).

### **Porque está Roctavian autorizado na UE?**

Os doentes com hemofilia A necessitam de tratamento ao longo da vida com uma ou mais injeções por semana ou mês para substituir ou mimetizar o fator VIII em falta. Roctavian demonstrou ser eficaz no aumento do nível de atividade do fator VIII em doentes com hemofilia A, e este aumento mantém-se durante, pelo menos, 2 anos. A Agência Europeia de Medicamentos também considerou que, uma vez que Roctavian é administrado como uma perfusão única, reduziria o ónus do tratamento para os doentes com hemofilia A grave durante, pelo menos, 2 anos. Embora os dados de segurança a longo prazo sejam limitados, o perfil de segurança foi considerado aceitável.

Foi concedida a Roctavian uma autorização condicional. Isto significa que a Agência concluiu que os benefícios de Roctavian são superiores aos seus riscos, mas que a empresa terá de fornecer provas adicionais após a autorização.

A autorização condicional é concedida com base em dados menos abrangentes do que os normalmente exigidos. É concedido para medicamentos que satisfazem uma necessidade médica não satisfeita para tratar doenças graves e quando os benefícios de os ter disponíveis mais cedo são superiores a quaisquer riscos associados à utilização dos medicamentos enquanto se aguarda mais evidências. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis até que os dados sejam exaustivos e, se necessário, à atualização do presente resumo.

## **Que informação ainda se aguarda sobre Roctavian?**

Dado que foi concedida uma autorização condicional a Roctavian, a empresa que comercializa Roctavian fornecerá dados adicionais dos estudos em curso sobre a segurança e a eficácia a longo prazo do medicamento em doentes com hemofilia A grave e realizará um estudo sobre quando iniciar o melhor tratamento com corticosteroides nestes doentes para evitar problemas hepáticos. A empresa fornecerá também dados de um registo de doentes tratados com Roctavian para estudar a sua segurança e eficácia a longo prazo.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Roctavian?**

A empresa responsável pela comercialização de Roctavian fornecerá aos doentes e aos profissionais de saúde material informativo que explique os benefícios, os riscos e as incertezas sobre os efeitos do medicamento a longo prazo. Os doentes receberão também um cartão do doente para informar os profissionais de saúde de que receberam Roctavian para o tratamento da hemofilia A.

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 Roctavian.

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

## **Outras informações sobre Roctavian**

Mais informações sobre Roctavian podem ser encontradas no sítio da internet da Agência: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian).