



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanacogen elaparvovec*)

Prezentare generală a Durveqtix și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Durveqtix și pentru ce se utilizează?

Durveqtix este un medicament utilizat pentru tratamentul hemofiliei B severe sau moderat severe la adulți, o afecțiune hemoragică ereditară cauzată de lipsa factorului IX (o proteină necesară pentru producerea de cheaguri de sânge care să oprească sângerarea). Medicamentul se utilizează la adulții care nu au dezvoltat inhibitori (proteine produse de mecanismele naturale de apărare ale organismului) ai factorului IX și care nu au anticorpi împotriva virusului conținut de medicament (vezi secțiunea privind modul în care acționează medicamentul).

Durveqtix conține substanța activă fidanacogen elaparvovec și este un tip de medicament pentru terapie avansată numit „medicament de terapie genică”. Este un tip de medicament care acționează prin eliberarea de gene în organism.

Cum se utilizează Durveqtix?

Durveqtix se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul trebuie administrat de un medic cu experiență în tratamentul hemofiliei și într-o unitate calificată în care sunt disponibile echipamente pentru a trata prompt posibile reacții legate de perfuzie.

Durveqtix se administrează o singură dată, ca perfuzie intravenoasă (picurare în venă) cu durata de aproximativ o oră. Doza depinde de greutatea pacientului.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Durveqtix, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Durveqtix?

Pacienții cu hemofilie B au mutații (modificări) la nivelul unei gene necesare organismului pentru a produce proteina de coagulare factorul IX, determinând reducerea sau lipsa de activitate a factorului IX. Fără o cantitate suficientă de factor IX, sângele nu se poate coagula corespunzător pentru a controla sângerarea.

Substanța activă din Durveqtix, fidanacogenul elaparvovec, se bazează pe un virus care a fost modificat pentru a conține o copie a genei responsabile de producerea factorului IX. Când se

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



administrează pacientului, virusul va transporta gena factorului IX la celulele hepatice, permițându-le să producă factorul IX lipsă și să scurteze astfel episoadele de sângerare.

Tipul de virus utilizat în acest medicament (virus adeno-asociat de serotip Rh74) nu cauzează boli la oameni.

Ce beneficii a prezentat Durveqtix pe parcursul studiilor?

Un studiu principal, care a cuprins 45 de bărbați cu hemofilie B severă sau moderat severă, a constatat că Durveqtix este mai eficace în reducerea numărului de sângeri decât terapia preventivă regulată de substituție cu factor IX.

Studiul a comparat numărul de episoade de sângerare pe care le-au avut pacienții în terapia preventivă regulată de substituție cu factor IX într-o perioadă de 6 luni, înainte de a li se administra Durveqtix, cu numărul de episoade de sângerare pe care l-au avut într-o perioadă de 1 an, după trei luni de la administrarea Durveqtix. Datele au arătat că Durveqtix a fost eficace în creșterea nivelurilor factorului IX și a redus rata anuală de sângerare de la 4,50 la 1,44 sângeri pe an. Aproximativ 60 % din pacienți (27 din 45) nu au avut nicio sângerare timp de cel puțin 2 ani după tratamentul cu Durveqtix.

Care sunt riscurile asociate cu Durveqtix?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Durveqtix, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Durveqtix (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt valori crescute ale anumitor enzime hepatice (transaminaze).

Durveqtix este contraindicat la persoanele hipersensibile (alergice) la oricare dintre ingredientele sale, care au o infecție activă, fie infecție acută (de scurtă durată), fie infecție cronică (de lungă durată) care nu este ținută sub control cu medicamente sau care au fibroză hepatică în stadiu avansat sau ciroză (sclerozarea ficatului).

De ce a fost autorizat Durveqtix în UE?

La momentul aprobării, majoritatea opțiunilor de tratament pentru pacienții cu hemofilie B severă implicau tratament frecvent toată viața, cu terapie de substituție cu factor IX. Administrat sub forma unei singure perfuzii, Durveqtix s-a dovedit eficace în prevenirea sângerării cel puțin 2 ani, majoritatea pacienților putând astfel să oprească terapia de substituție cu factor IX. Cu toate acestea, s-a constatat că unii pacienți din studiul principal au fost nevoiți să reia terapia de prevenție cu factor IX, deoarece Durveqtix nu a dat rezultate suficient de bune în cazul lor. În plus, există unele incertitudini cu privire la durata beneficiilor Durveqtix. Profilul de siguranță al Durveqtix a fost considerat acceptabil.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Durveqtix sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Durveqtix a primit autorizare condiționată. Acest lucru înseamnă că medicamentul a fost autorizat pe baza unor date mai puțin cuprinzătoare decât cele solicitate în mod normal, deoarece îndeplinește o necesitate medicală nesatisfăcută. Agenția consideră că beneficiile punerii la dispoziție mai devreme a medicamentului sunt mai mari decât riscurile asociate cu utilizarea acestuia în așteptarea unor dovezi suplimentare.

Compania trebuie să furnizeze date suplimentare despre Durveqtix. Aceasta trebuie să prezinte date pe termen lung privind eficacitatea și siguranța medicamentului din studiile în curs de desfășurare. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Durveqtix?

În plus față de datele solicitate în cadrul autorizației de punere pe piață condiționate, compania care comercializează Durveqtix va furniza, de asemenea, date dintr-un studiu bazat pe registru cu pacienții tratați cu acest medicament pentru a studia siguranța și eficacitatea sa pe termen lung, precum și date dintr-un studiu pe termen lung.

Compania va furniza materiale educaționale pacienților sau îngrijitorilor acestora și personalului medical, care conțin informații privind beneficiile, riscurile și incertitudinile legate de efectele pe termen lung și de siguranța medicamentului. De asemenea, pacienții trebuie să primească un card pentru pacienți care să informeze personalul medical că sunt tratați cu Durveqtix.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Durveqtix, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Durveqtix sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Durveqtix sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Durveqtix

Mai multe informații despre Durveqtix se pot găsi pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.