



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanakogén elaparvovek*)

Prehľad o lieku Durveqtix a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Durveqtix a na čo sa používa?

Liek Durveqtix sa používa na liečbu dospelých so závažnou alebo stredne závažnou hemofíliou B, dedičnou poruchou krvácania zapríčinenou nedostatkom faktora IX (proteínu potrebného na tvorbu krvných zrazenín, aby sa zastavilo krvácanie). Liek sa používa u dospelých, ktorí nemajú vyvinuté inhibítory (proteíny vyrobené prirodzenou ochranou tela) proti faktoru IX a ktorí nemajú protilátky proti vírusu obsiahnutému v lieku (pozri časť o tom, ako liek účinkuje).

Liek Durveqtix obsahuje liečivo fidanakogén elaparvovek a je to druh lieku na inovatívnu liečbu a označuje sa ako tzv. liek na génovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý účinkuje tak, že telu dodáva gény.

Ako sa liek Durveqtix používa?

Výdaj lieku Durveqtix je viazaný na lekársky predpis. Liečbu musí podávať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou hemofílie a v kvalifikovanom zariadení, ktoré je vybavené na rýchlu liečbu možných reakcií súvisiacich s infúziou.

Liek Durveqtix sa podáva raz vo forme jednej infúzie (na kvapkanie) do žily, ktorá trvá asi jednu hodinu. Dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta.

Viac informácií o používaní lieku Durveqtix si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

Akým spôsobom liek Durveqtix účinkuje?

Pacienti s hemofíliou B majú mutácie (zmeny) v géne, ktorý telo potrebuje na vytvorenie proteínu spôsobujúceho zrážanlivosť krvi, ktorý sa nazýva faktor IX, čo vedie buď k zníženiu alebo neprítomnosti aktivity faktora IX. Bez dostatočného faktora IX sa krv nemôže správne zrážať, aby sa kontrolovalo krvácanie.

Liečivo lieku Durveqtix, fidanakogén elaparvovek, je založené na víruse, ktorý bol modifikovaný tak, aby obsahoval kópiu génu zodpovedného za produkciu faktora IX. Po podaní lieku pacientovi vírus prenesie gén faktora IX do pečňových buniek, čo im umožní vytvárať chýbajúci faktor IX a tým obmedziť epizódy krvácania.

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



Typ vírusu, ktorý sa používa v tomto lieku (adeno-asociovaný vírus sérotypu Rh74), nespôsobuje ochorenie u ľudí.

Aké prínosy lieku Durveqtix boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii zahŕňajúcej 45 mužov so závažnou alebo stredne závažnou hemofíliou B sa zistilo, že liek Durveqtix je pri znižovaní počtu krvácaní účinnejší ako pravidelná preventívna substitučná liečba faktorom IX.

V štúdii sa porovnával počet epizód krvácania, ktoré pacienti mali pri pravidelnej substitučnej liečbe faktorom IX počas 6 mesiacov pred podaním lieku Durveqtix, s počtom epizód krvácania počas 1 roka začínajúceho tri mesiace po podaní lieku Durveqtix. Z údajov vyplynulo, že liek Durveqtix bol účinný pri zvyšovaní hladiny faktora IX a znížil ročnú mieru krvácania zo 4,50 na 1,44 krvácania ročne. Približne u 60 % pacientov (27 zo 45) sa minimálne 2 roky po liečbe liekom Durveqtix nevyskytlo žiadne krvácanie.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Durveqtix?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Durveqtix a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Durveqtix (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) zahŕňajú zvýšené hladiny určitých pečenevých enzýmov (transaminázy).

Liek Durveqtix sa nesmie podávať osobám, ktoré sú precitlivené (alergické) na ktorúkoľvek z jeho zložiek, majú aktívnu infekciu, ktorá je buď akútnou (krátkodobou) infekciou, alebo chronickou (dlhodobou) infekciou, ktorá nie je kontrolovaná liekmi, alebo majú pokročilú fibrózu pečene alebo cirhózu (zjazvenie pečene).

Prečo bol liek Durveqtix povolený v EÚ?

V čase povolenia lieku väčšina možností liečby pacientov so závažnou hemofíliou B zahŕňala celoživotnú častú liečbu substitučnou liečbou faktorom IX. Preukázalo sa, že liek Durveqtix podávaný vo forme jednej infúzie je účinný pri prevencii krvácania počas obdobia najmenej dvoch rokov, čím sa väčšine pacientov umožnilo zastaviť liečbu preventívnou substitučnou liečbou faktorom IX. Zistilo sa však, že niektorí pacienti v hlavnej štúdii museli obnoviť preventívnu liečbu faktorom IX, pretože liek Durveqtix u nich dostatočne neúčinkoval. Okrem toho existujú určité nejasnosti, pokiaľ ide o to, ako dlho trvajú prínosy lieku Durveqtix. Bezpečnostný profil lieku Durveqtix sa považoval za prijateľný.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Durveqtix sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek byť povolený na používanie v EÚ.

Lieku Durveqtix bolo udelené povolenie s podmienkou. To znamená, že bol povolený na základe menej komplexných údajov, než sa bežne požaduje, pretože naplňa dovtedy nenaplnenú liečebnú potrebu. Agentúra sa domnieva, že prínos skoršieho sprístupnenia lieku je väčší ako všetky riziká spojené s jeho používaním, kým sa čaká na ďalšie dôkazy.

Spoločnosť musí predložiť ďalšie údaje o lieku Durveqtix. Musí predložiť dlhodobé údaje o účinnosti a bezpečnosti lieku z prebiehajúcich štúdií. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Durveqtix?

Okrem údajov požadovaných v rámci povolenia na uvedenie na trh s podmienkou spoločnosť, ktorá liek Durveqtix uvádza na trh, predloží aj údaje zo štúdie založenej na registri s pacientmi liečenými týmto liekom na preskúmanie jeho dlhodobej bezpečnosti a účinnosti, ako aj údaje z dlhodobej štúdie.

Spoločnosť poskytne pacientom alebo ich opatrovateľom a zdravotníckym pracovníkom vzdelávacie materiály s informáciami o prínosoch, rizikách a neistotách týkajúcich sa dlhodobých účinkov a bezpečnosti lieku. Pacienti musia dostať aj kartu pacienta informujúcu zdravotníckych pracovníkov, že boli liečení liekom Durveqtix.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Durveqtix boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Durveqtix sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Durveqtix sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Durveqtix

Ďalšie informácie o lieku Durveqtix sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.