



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672444/2022  
EMA/H/C/005830

## Roctavian (*valoktokogén roxaparvovek*)

Prehľad o lieku Roctavian a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Roctavian a na čo sa používa?

Roctavian je liek na liečbu závažnej hemofílie A, čo je dedičná porucha krvácania v dôsledku nedostatku proteínu zrážanlivosti krvi známeho ako faktor VIII. Používa sa u dospelých, ktorí nemajú inhibítory (protilátky) proti faktoru VIII a ktorí nemajú protilátky proti adeno-asociovanému vírusu sérotypu 5 (AAV5).

Liek Roctavian obsahuje liečivo valoktokogén roxaparvovek 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.

Hemofília A je zriedkavá, a preto bol liek Roctavian 21. marca 2016 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622).

### Ako sa liek Roctavian používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečba sa má začať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s liečbou hemofílie alebo porúch krvácania. Liek sa má podávať v zariadení vybavenom na rýchlu liečbu reakcií súvisiacich s infúziou.

Liek Roctavian sa podáva vo forme jednej infúzie (na kvapkanie) do žily v trvaní niekoľkých hodín. Dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta. Pacienti môžu dostať ďalšie lieky na zníženie rizika reakcií súvisiacich s infúziou.

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

### Akým spôsobom liek Roctavian účinkuje?

Roctavian sa vyrába z vírusu (AAV5), ktorý bol upravený tak, aby obsahoval gén faktoru VIII, ktorý chýba u pacientov s hemofíliou A. Očakáva sa, že po podaní pacientovi vírus preniesie gén faktora VIII do pečňových buniek, čím im umožní dlhodobo vytvárať chýbajúci faktor VIII. Predpokladá sa, že to bude kontrolovať poruchu krvácania.

Druh vírusu v tomto lieku (adeno-asociovaný vírus) nespôsobuje ochorenie u ľudí.

**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



## **Aké prínosy lieku Roctavian boli preukázané v štúdiách?**

V hlavnej štúdií, na ktorej sa zúčastnilo 134 dospelých pacientov mužského pohlavia so závažnou hemofíliou A, sa zistilo, že liek Roctavian je účinný pri zvyšovaní hladiny aktivity faktora VIII a že toto zvýšenie trvalo najmenej dva roky. 104 týždňov po podaní jednej dávky lieku malo 75,4 % pacientov priemernú úroveň aktivity faktora VIII najmenej 5 medzinárodných jednotiek na deciliter (IU/dL), čo je miera miernej hemofílie. Okrem toho sa počet epizód krvácania za rok znížil o 85,5 % a potreba ďalšej substitučnej liečby faktorom VIII klesla o 97,5 %.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Roctavian?**

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Roctavian (ktoré môžu postihnúť viac ako 3 osoby z 10) sú zvýšená hladina pečeňových enzýmov alanínaminotransferázy a aspartátaminotransferázy (príznaky možných problémov s pečeňou), zvýšená hladina enzýmu laktátdehydrogenázy (príznak možného poškodenia tkaniva), nauzea (pocit nevoľnosti) a bolesť hlavy. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Roctavian sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Roctavian sa nesmie podávať osobám, ktoré sú precitlivené (alergické) na niektorú z jeho zložiek, ani osobám s aktívnou alebo chronickou (dlhodobou) infekciou, ktorá nie je kontrolovaná liekmi alebo závažnou fibrózou pečene alebo cirhózou pečene (zjazvením pečene).

## **Prečo bol liek Roctavian povolený v EÚ?**

Pacienti s hemofíliou A potrebujú celoživotnú liečbu jednou alebo viacerými injekciami týždenne alebo mesačne, aby nahradili alebo napodobnili chýbajúci faktor VIII. Preukázalo sa, že liek Roctavian je účinný pri zvyšovaní úrovne aktivity faktora VIII u pacientov s hemofíliou A a že toto zvýšenie trvá najmenej 2 roky. Európska agentúra pre lieky tiež usúdila, že keďže liek Roctavian podáva vo forme jednej infúzie, liečebné zaťaženie pacientov so závažnou hemofíliou A sa môže zmierniť počas dvoch rokov. Hoci sú údaje o dlhodobej bezpečnosti obmedzené, bezpečnostný profil sa považoval za prijateľný.

Liek Roctavian bol povolený s podmienkou. To znamená, že agentúra rozhodla, že prínosy lieku Roctavian sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním, ale spoločnosť bude musieť po povolení predložiť ďalšie dôkazy.

Povolenie s podmienkou sa vydáva na základe menej komplexných údajov, ako sa zvyčajne vyžaduje. Udeľuje sa liekom, ktoré spĺňajú nenaplnenú liečebnú potrebu závažných chorôb a ak prínos ich skoršieho uvedenia na trh prevýši riziká spojené s ich používaním počas čakania na ďalšie dôkazy. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie, kým nebudú údaje úplné a tento prehľad sa podľa potreby aktualizuje.

## **Aké informácie o lieku Roctavian dosiaľ neboli predložené?**

Keďže liek Roctavian bol povolený s podmienkou, spoločnosť, ktorá liek Roctavian uvádza na trh, predloží ďalšie údaje z prebiehajúcich štúdií o dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku u pacientov so závažnou hemofíliou A a uskutoční štúdiu, aby zistila, kedy je najvhodnejšie začať liečbu kortikosteroidmi u týchto pacientov, aby sa predišlo problémom s pečeňou. Spoločnosť poskytne aj údaje z registra pacientov liečených liekom Roctavian na preskúmanie jeho dlhodobej bezpečnosti a účinnosti.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Roctavian?**

Spoločnosť, ktorá liek Roctavian uvádza na trh, poskytne pacientom a zdravotníckym pracovníkom vzdelávací materiál o prínose, rizikách a neistotách súvisiacich s dlhodobým účinkom lieku. Pacienti dostanú aj kartu pacienta, ktorou informujú zdravotníckych pracovníkov, že dostali liek Roctavian na liečbu hemofílie A.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Roctavian 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 Roctavian sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Roctavian sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Roctavian**

Ďalšie informácie o lieku Roctavian sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian).