



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanakogen elaparvovek*)

Pregled zdravila Durveqtix in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Durveqtix in za kaj se uporablja?

Zdravilo Durveqtix se uporablja za zdravljenje odraslih s hudo ali zmerno hudo hemofilijo B, prirojeno motnjo strjevanja krvi zaradi pomanjkanja faktorja IX (beljakovine, ki je potrebna za strjevanje krvi za zaustavitev krvavitve). Uporablja se pri odraslih, pri katerih se niso razvili zaviralci (beljakovine, ki jih tvori naravni obrambni mehanizem telesa) faktorja IX in ki nimajo protiteles proti virusu, ki ga vsebuje zdravilo (glej razdelek o mehanizmu delovanja zdravila).

Zdravilo Durveqtix vsebuje učinkovino fidanakogen elaparvovek in spada med zdravila za napredno zdravljenje, ki se imenujejo „zdravila za gensko zdravljenje“. Gre za skupino zdravil, ki delujejo tako, da prenesejo gene v telo.

Kako se zdravilo Durveqtix uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Durveqtix je le na recept. Zdravljenje sme uvesti le zdravnik z izkušnjami z zdravljenjem hemofilije v ustrezni zdravstveni ustanovi, ki je opremljena za nudenje urgentne pomoči ob morebitnih reakcijah, povezanih z infundiranjem.

Zdravilo Durveqtix se da enkrat v obliki enkratne (kapalne) infuzije v veno, ki traja približno eno uro. Odmerek je odvisen od bolnikove telesne mase.

Za več informacij glede uporabe zdravila Durveqtix glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Durveqtix deluje?

Bolniki s hemofilijo B imajo mutacije (spremembe) v genu, ki ga telo potrebuje za tvorbo koagulacijske beljakovine faktor IX, zaradi česar je dejavnost faktorja IX oslABLJENA ali pa ta sploh ni dejaven. Brez zadostne količine faktorja IX se kri ne more strjevati za se zaustavi krvavitev.

Učinkovina v zdravilu Durveqtix, fidanakogen elaparvovek, je zasnovana na virusu, ki je bil spremenjen tako, da vsebuje kopijo gena, odgovornega za tvorbo faktorja IX. Ko se virus injicira v bolnika, ta prenese gen faktorja IX v jetrne celice, kar jim omogoči tvorjenje manjkajočega faktorja IX ter s tem zmanjšanje epizod krvavitve.

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



Vrsta virusa, ki se uporablja v tem zdravilu (adenoasociacijski virus serotipa Rh74), pri ljudeh ne povzroča bolezni.

Kakšne koristi zdravila Durveqtix so se pokazale v študijah?

V glavni študiji, v katero je bilo vključenih 45 moških s hudo ali zmerno hudo hemofilijo B, je bilo ugotovljeno, da je zdravilo Durveqtix pri zmanjševanju števila krvavitev učinkovitejše od rednega preventivnega nadomestnega zdravljenja s faktorjem IX.

V študiji so primerjali število epizod krvavitev pri bolnikih, ki so prejeli redno preventivno nadomestno zdravljenje s faktorjem IX v šestmesečnem obdobju pred prejemom zdravila Durveqtix, s številom epizod, ki so jih imeli v enoletnem obdobju, ki se je začelo tri mesece po prejemu zdravila Durveqtix. Podatki so pokazali, da je zdravilo Durveqtix učinkovito pri zviševanju ravni faktorja IX in je zmanjšalo letno stopnjo krvavitev s 4,50 na 1,44 krvavitve na leto. Približno 60 % (27 od 45) bolnikov vsaj dve leti po zdravljenju z zdravilom Durveqtix ni imelo krvavitev.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Durveqtix?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Durveqtix glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Durveqtix (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) vključujejo povišane ravni določenih jetrnih encimov (transaminaz).

Zdravilo Durveqtix se ne sme dajati osebam, ki so preobčutljive za (alergične na) katero koli sestavino zdravila, osebam z aktivno okužbo, ki je bodisi akutna (kratkotrajna) bodisi kronična (dolgotrajna) okužba, ki ni nadzorovana z zdravili, ali osebam z napredovalo fibrozo jeter ali cirozo (brazgotinjenjem jeter).

Zakaj je bilo zdravilo Durveqtix odobreno v EU?

V času odobritve je večina možnosti zdravljenja bolnikov s hudo hemofilijo B vključevala doživljenjsko pogosto dajanje zdravil za nadomeščanje faktorja IX. Zdravilo Durveqtix, ki se daje v obliki enkratne infuzije, se je izkazalo za učinkovito pri preprečevanju krvavitev v obdobju najmanj dveh let, kar je večini bolnikov omogočilo prekinitev preventivnega zdravljenja z nadomeščanjem faktorja IX. Vendar pa je bilo ugotovljeno, da so morali nekateri bolniki v glavni študiji preiti nazaj na to zdravljenje, saj zdravilo Durveqtix zanje ni bilo dovolj učinkovito. Poleg tega obstaja nekaj negotovosti glede tega, kako dolgo trajajo koristi zdravila Durveqtix. Varnostni profil zdravila Durveqtix je bil ocenjen kot sprejemljiv.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Durveqtix večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Za zdravilo Durveqtix je bilo izdano pogojno dovoljenje. To pomeni, da je bilo odobreno na podlagi manj izčrpnih podatkov, kot je običajno potrebno, ker izpolnjuje neizpolnjeno zdravstveno potrebo. Agencija meni, da koristi zgodnejše razpoložljivosti zdravila odtehtajo vsa tveganja, povezana z njegovo uporabo, medtem ko se pričakujejo dodatni dokazi.

Podjetje mora predložiti dodatne podatke o zdravilu Durveqtix. Predložiti mora dolgoročne podatke o učinkovitosti in varnosti zdravila iz potekajočih študij. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Durveqtix?

Poleg podatkov, ki so bili zahtevani v okviru izdaje pogojnega dovoljenja za promet z zdravilom, bo podjetje, ki trži zdravilo Durveqtix, zagotovilo tudi podatke iz študije evidenc o bolnikih, zdravljenih s tem zdravilom, da bi raziskala njegovo dolgoročno varnost in učinkovitost, ter podatke iz dolgoročne študije.

Prav tako bo bolnikom ali njihovim skrbnikom in zdravstvenim delavcem zagotovilo izobraževalno gradivo z informacijami o koristih, tveganjih in negotovostih glede dolgoročnih učinkov in varnosti zdravila. Bolniki morajo prejeti tudi kartico za bolnike, s katero zdravstvene delavce opozorijo na to, da se zdravijo z zdravilom Durveqtix.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Durveqtix upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Durveqtix stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Durveqtix, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Durveqtix

Nadaljnje informacije za zdravilo Durveqtix so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.