



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*fidanakogen-elaparvovek*)

Sammanfattning av Durveqtix och varför det är godkänt inom EU

Vad är Durveqtix och vad används det för?

Durveqtix är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med svår och medelsvår form av hemofili B, en ärftlig blödningssjukdom som orsakas av brist på faktor IX (ett protein som behövs för att tillverka blodkoagel för att stoppa blödning). Det ges till vuxna som inte har utvecklat hämmare (proteiner som framställs av kroppens naturliga försvar) mot faktor IX och som inte har antikroppar mot det virus som finns i läkemedlet (se avsnittet om hur läkemedlet verkar).

Durveqtix innehåller den aktiva substansen fidanakogen-elaparvovek och är en "genterapiprodukt". Det är en typ av läkemedel för avancerad terapi som verkar genom att gener förs in i kroppen.

Hur används Durveqtix?

Durveqtix är receptbelagt. Behandlingen ska ges av en läkare med erfarenhet av behandling av hemofili och i en kvalificerad vårdinrättning som är utrustad för att snabbt behandla eventuella infusionsrelaterade reaktioner.

Durveqtix ges en gång, som en engångsinfusion (dropp) i en ven under ungefär en timme. Dosen beror på patientens vikt.

För mer information om hur du använder Durveqtix, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Durveqtix?

Patienter med hemofili B har mutationer (förändringar) i en gen som kroppen behöver för att tillverka koagulationsproteinet faktor IX, vilket leder till minskad eller frånvaro av faktor IX-aktivitet. Utan tillräcklig faktor IX kan blodet inte koagulera ordentligt för att kontrollera blödningen.

Den aktiva substansen i Durveqtix, fidanakogen-elaparvovek, är baserad på ett virus som har modifierats för att innehålla en kopia av den gen ansvarar för att tillverka faktor IX. När viruset ges till patienten kommer faktor IX-genen att överföras till levercellerna så att de kan tillverka den faktor IX som saknas och därigenom begränsa blödningsepisoderna.

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



Den typ av virus som används i detta läkemedel (adenoassocierat virus serotyp RH74) orsakar inte sjukdom hos människor.

Vilka fördelar med Durveqtix har visats i studierna?

En huvudstudie på 45 män med svår eller medelsvår hemofili B visade att Durveqtix är effektivare än vanlig förebyggande faktor IX-ersättningsterapi när det gäller att minska antalet blödningar.

Antalet blödningsepisoder som patienterna hade med vanlig förebyggande faktor IX-ersättningsbehandling under en period på 6 månader innan de fick Durveqtix jämfördes med antalet blödningsepisoder under en period på 1 år från och med 3 månader efter att de fick Durveqtix. Data visade att Durveqtix var effektivt för att öka faktor IX-nivåerna och minskade den årliga blödningsfrekvensen från 4,50 till 1,44 blödningar per år. Hos omkring 60 procent av patienterna (27 av 45) förekom ingen blödning under minst 2 år efter behandling med Durveqtix.

Vilka är riskerna med Durveqtix?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Durveqtix finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Durveqtix (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är bland annat förhöjda nivåer av vissa leverenzymmer (transaminaser).

Durveqtix får inte ges till personer som är överkänsliga (allergiska) mot något av dess ingredienser, som har en aktiv akut (kortvarig) eller kronisk (långvarig) infektion som inte kontrolleras med läkemedel, eller som har avancerad leverfibros eller levercirros (ärrbildning i levern).

Varför är Durveqtix godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet omfattade de flesta behandlingsalternativen för patienter med svår hemofili B livslång frekvent behandling med faktor IX-ersättningsbehandling. Durveqtix, som gavs som en enda infusion, visade sig vara effektivt när det gäller att förebygga blödning under en period på minst 2 år, vilket gjorde det möjligt för de flesta patienter att avbryta behandlingen med förebyggande faktor IX-ersättningsterapi. Det noterades dock att vissa patienter i huvudstudien var tvungna att återuppta den förebyggande faktor IX-ersättningsbehandlingen, eftersom Durveqtix inte fungerade tillräckligt bra för dem. Dessutom råder det viss osäkerhet om hur länge fördelarna med Durveqtix varar. Säkerhetsprofilen för Durveqtix ansågs godtagbar.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Durveqtix är större än riskerna och att Durveqtix kan godkännas för försäljning i EU.

Durveqtix har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att det har godkänts på grundval av mindre omfattande data än vad som normalt krävs, på grund av att det uppfyller ett ouppfyllt medicinskt behov. EMA anser att fördelarna med att ha läkemedlet tillgängligt tidigare uppväger riskerna vid användning av det i väntan på ytterligare belegg.

Företaget måste lämna ytterligare uppgifter om Durveqtix. Företaget måste lämna in långsiktiga data om läkemedlets effekt och säkerhet från pågående studier. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Durveqtix?

Utöver de uppgifter som begärs som en del av det villkorade godkännandet för försäljning kommer företaget som marknadsför Durveqtix också att tillhandahålla data från en registerbaserad studie med

patienter som behandlats med läkemedlet för att studera dess långsiktiga säkerhet och effekt samt data från en långtidsstudie.

Företaget kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial till patienter eller deras vårdare och till hälso- och sjukvårdspersonal med information om fördelar, risker och osäkerhet om läkemedlets långsiktiga effekter och säkerhet. Patienterna ska också få ett patientkort för att informera hälso- och sjukvårdspersonalen om att de har behandlats med Durveqtix.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Durveqtix har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Durveqtix kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Durveqtix utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Durveqtix

Mer information om Durveqtix finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.