



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/478238/2023
EMA/H/C/004454

Veyvondi (*vonikog alfa*)

Sammanfattning av Veyvondi och varför det är godkänt inom EU

Vad är Veyvondi och vad används det för?

Veyvondi är ett läkemedel som används för att kontrollera blödning hos vuxna och barn med von Willebrands sjukdom (en ärftlig blödningssjukdom) som inte kan behandlas med desmopressin (ett annat läkemedel för att stoppa blödning) eller hos vilka desmopressin inte verkar.

Hos vuxna används det för att förebygga och behandla blödningsepisoder, även under kirurgiska ingrepp. Hos barn används det endast för att behandla blödningsepisoder som inte är relaterade till kirurgiska ingrepp. Det används inte för att förebygga blödningsepisoder.

Veyvondi innehåller den aktiva substansen vonikog alfa.

Hur används Veyvondi?

Veyvondi är receptbelagt och behandlingen ska övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med blödningssjukdomar.

Veyvondi ges som en injektion i en ven. Injektionernas dos och frekvens beror på om Veyvondi används under operation eller för att behandla eller förebygga blödningsepisoder.

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

Hur verkar Veyvondi?

Personer med von Willebrands sjukdom saknar von Willebrandfaktor, ett protein som behövs för att blodet ska kunna koagulera normalt, och de blöder därför lättare. Den aktiva substansen i Veyvondi, vonikog alfa, produceras i laboratorium och verkar på samma sätt som naturlig von Willebrandfaktor. Den ersätter det saknade proteinet, vilket hjälper blodet att koagulera och gör att blödningen kan kontrolleras.

Vilka fördelar med Veyvondi har visats i studierna?

Studier på vuxna

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



Veyvondi har visat sig vara effektivt när det gäller att kontrollera blödningsepisoder i tre huvudstudier på vuxna med von Willebrands sjukdom. Veyvondi jämfördes inte med några andra behandlingar i dessa studier.

I den första studien ingick 37 patienter som fick Veyvondi för att behandla blödningsepisoder. Huvudeffektmåttet utgick ifrån en bedömning av hur väl behandlingen fungerade. Behandling med Veyvondi var framgångsrik hos 95 procent av patienterna (20 av 22). Sammanlagt registrerades 193 blödningsepisoder, och Veyvondi fick bedömningen "utmärkt" eller "god" vid behandling av omkring 98 procent av blödningarna.

I den andra studien ingick 15 patienter som fick Veyvondi för att förebygga blödning vid kirurgiska ingrepp, inräknat större ingrepp som byte av knäled. Vid de 15 större och mindre ingreppen under studien fick Veyvondi bedömningen "utmärkt" eller "god" för att förebygga blödningsepisoder vid samtliga 15 ingrepp.

En tredje studie gjordes på 23 patienter med svår von Willebrands sjukdom som fick Veyvondi som förebyggande behandling för att undvika blödningsepisoder. Före studien hade patienterna antingen behandlats med von Willebrandfaktor vid behov och haft minst tre spontana blödningar som behövde behandlas under det senaste året, eller så hade de i förebyggande syfte behandlats med en plasmaderiverad von Willebrandfaktor i minst 12 månader. Plasmaderiverad innebär att produkten framställts ur mänsklig plasma (den flytande delen av blodet).

Hos de 13 patienter som tidigare hade behandlats vid behov minskade förebyggande behandling med Veyvondi antalet årliga blödningar med omkring 92 procent jämfört med det genomsnittliga antalet under året före behandlingen med Veyvondi.

Hos de 10 patienter som hade fått en plasmaderiverad von Willebrandfaktor för att förhindra blödningar minskade förebyggande behandling med Veyvondi antalet årliga blödningar med 45 procent jämfört med det genomsnittliga antalet under året innan de bytte till Veyvondi.

Studie på barn

I en pågående studie på 25 barn med svår von Willebrands sjukdom visade sig Veyvondi vara effektivt när det gäller att behandla blödningsepisoder som inte är relaterade till kirurgiska ingrepp hos dessa patienter. I studien jämfördes inte Veyvondi med andra behandlingar.

Hos alla de 18 barnen som hade blödningsepisoder ansågs behandlingen med Veyvondi vara framgångsrik. Behandlingens effektivitet utvärderades för totalt 98 blödningsepisoder av varierande svårighetsgrad och bedömdes vara "utmärkt" eller "bra" hos samtliga.

Vilka är riskerna med Veyvondi?

En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Veyvondi finns i bipacksedeln.

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Veyvondi (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är huvudvärk. Följande biverkningar kan också uppträda under behandling med Veyvondi: (allergiska) överkänslighetsreaktioner, tromboemboliska händelser (problem till följd av bildningen av blodproppar i blodkärlen), utveckling av hämmare (antikroppar) mot von Willebrandfaktor som gör att läkemedlet slutar verka och leder till förlorad blödningskontroll.

Veyvondi får inte ges till patienter som har haft allergiska reaktioner mot mus- eller hamsterprotein.

Varför är Veyvondi godkänt i EU?

Veyvondi visade sig vara effektivt när det gäller att förebygga och behandla blödningsepisoder hos vuxna med von Willebrands sjukdom. Veyvondi var också effektivt för att förebygga och behandla blödning i samband med kirurgiska ingrepp. Hos barn visade sig Veyvondi vara effektivt när det gäller att behandla blödningsepisoder som inte är relaterade till kirurgiska ingrepp.

Veyvondi ska endast användas när desmopressin (huvudbehandlingen mot von Willebrands sjukdom) inte kan användas eller inte fungerar tillräckligt väl. EMA noterade att det finns en osäkerhet på grund av det låga antalet patienter som ingick i studierna och avsaknaden av ett direkt jämförelseläkemedel. Detta ansågs dock godtagbart eftersom sjukdomen är sällsynt. Biverkningarna av Veyvondi ansågs vara typiska för detta slags läkemedel. Säkerhetsprofilen för barn liknar den som ses hos vuxna.

Myndigheten fann därför att fördelarna med Veyvondi är större än riskerna och att Veyvondi kan godkännas för försäljning i EU.

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

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

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för läkemedlet kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Veyvondi utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Veyvondi

Den 31 augusti 2018 beviljades Veyvondi ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Veyvondi finns på EMA:s webbplats:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/veyvondi>.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 11-2025.