



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Durveqtix (*Fidanacogen elaparvovec*)

Übersicht über Durveqtix und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Durveqtix und wofür wird es angewendet?

Durveqtix ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen mit schwerer oder mittelschwerer Hämophilie B, einer angeborenen Blutungsstörung, die durch einen Mangel an Faktor IX (einem Protein, das zur Bildung von Blutgerinnseln erforderlich ist, um Blutungen zu stoppen) verursacht wird. Es wird bei Erwachsenen angewendet, die keine Hemmkörper (Proteine, die durch die natürliche Abwehr des Körpers gebildet werden) gegen den Faktor IX entwickelt haben und keine Antikörper gegen das im Arzneimittel enthaltene Virus aufweisen (siehe Abschnitt über die Wirkungsweise des Arzneimittels).

Durveqtix enthält den Wirkstoff Fidanacogen elaparvovec und ist ein Arzneimittel für neuartige Therapien, das als „Gentherapeutikum“ bezeichnet wird. Diese Arzneimittel wirken, indem sie Gene in den Körper einbringen.

Wie wird Durveqtix angewendet?

Durveqtix ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung muss von einem in der Behandlung von Hämophilie erfahrenen Arzt und in einer qualifizierten Einrichtung durchgeführt werden, die für die sofortige Behandlung möglicher infusionsbedingter Reaktionen ausgestattet ist.

Durveqtix wird einmal als einzelne Infusion (Tropfinfusion) in eine Vene über etwa eine Stunde verabreicht. Die anzuwendende Dosis hängt vom Körpergewicht des Patienten ab.

Weitere Informationen zur Anwendung von Durveqtix entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Durveqtix?

Patienten mit Hämophilie B weisen Mutationen (Veränderungen) in einem Gen auf, das der Körper zur Bildung des Gerinnungsproteins Faktor IX benötigt; dies führt entweder zu einer Verringerung oder zum Fehlen der Faktor-IX-Aktivität. Ohne ausreichenden Faktor IX kann das Blut nicht richtig gerinnen, um Blutungen zu kontrollieren.

Der Wirkstoff in Durveqtix, Fidanacogen elaparvovec, basiert auf einem Virus, das so verändert wurde, dass es eine Kopie des Gens enthält, das für die Herstellung des Faktors IX verantwortlich ist. Wenn

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



das Virus dem Patienten gegeben wird, trägt es das Faktor-IX-Gen in die Leberzellen, wodurch diese den fehlenden Faktor IX bilden und dadurch Blutungsepisoden begrenzen können.

Die Art des in diesem Arzneimittel verwendeten Virus (Adeno-assoziiertes Virus Rh74) verursacht keine Erkrankung beim Menschen.

Welchen Nutzen hat Durveqtix in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie mit 45 Männern mit schwerer oder mittelschwerer Hämophilie B wurde festgestellt, dass Durveqtix bei der Verringerung der Anzahl der Blutungen wirksamer ist als eine regelmäßige vorbeugende Faktor-IX-Ersatztherapie.

In der Studie wurde die Anzahl der Blutungsepisoden, die bei Patienten mit einer regelmäßigen vorbeugenden Faktor-IX-Ersatztherapie über einen Zeitraum von 6 Monaten vor der Behandlung mit Durveqtix auftraten, mit der Anzahl der Blutungsepisoden verglichen, die sie über einen Zeitraum von 1 Jahr hatten, der drei Monate nach der Behandlung mit Durveqtix begann. Die Daten zeigten, dass Durveqtix die Faktor-IX-Spiegel wirksam erhöhte und die jährliche Blutungsrate von 4,50 auf 1,44 Blutungen pro Jahr reduzierte. Etwa 60 % der Patienten (27 von 45) hatten nach der Behandlung mit Durveqtix mindestens zwei Jahre lang keine Blutungen.

Welche Risiken sind mit Durveqtix verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Durveqtix ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Durveqtix (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind erhöhte Konzentrationen bestimmter Leberenzyme (Transaminasen).

Durveqtix darf nicht bei Patienten angewendet werden, die überempfindlich (allergisch) gegen einen der Bestandteile sind, die eine aktive Infektion, d. h. entweder eine akute (kurzfristige) Infektion oder eine chronische (langfristige) Infektion haben, die nicht durch Arzneimittel kontrolliert wird, oder die eine fortgeschrittene Leberfibrose oder Leberzirrhose (Vernarbung der Leber) haben.

Warum wurde Durveqtix in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung umfassten die meisten Behandlungsoptionen für Patienten mit schwerer Hämophilie B eine lebenslange häufige Behandlung mit einer Faktor-IX-Ersatztherapie. Durveqtix als einzelne Infusion erwies sich bei der Vorbeugung von Blutungen über einen Zeitraum von mindestens 2 Jahren als wirksam, sodass die meisten Patienten die Behandlung mit einer vorbeugenden Faktor-IX-Ersatztherapie abbrechen konnten. Es wurde jedoch festgestellt, dass einige Patienten in der Hauptstudie die vorbeugende Faktor-IX-Therapie wieder aufnehmen mussten, da Durveqtix bei ihnen nicht ausreichend wirksam war. Darüber hinaus bestehen gewisse Unsicherheiten darüber, wie lange der Nutzen von Durveqtix andauert. Das Sicherheitsprofil von Durveqtix wurde als akzeptabel eingestuft.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Durveqtix gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Durveqtix wurde unter „besonderen Bedingungen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass die Zulassung auf der Grundlage weniger umfassender Daten erteilt wurde, als normalerweise erforderlich sind, weil es eine Behandlungslücke schließt. Die Agentur ist der Auffassung, dass der Nutzen einer früheren

Verfügbarkeit des Arzneimittels gegenüber den Risiken seiner Anwendung überwiegt, während auf weitere Nachweise gewartet wird.

Das Unternehmen muss weitere Daten zu Durveqtix vorlegen. Es muss Langzeitdaten zur Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels aus laufenden Studien vorlegen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Durveqtix ergriffen?

Zusätzlich zu den Daten, die im Rahmen der Zulassung unter besonderen Bedingungen angefordert wurden, wird das Unternehmen, das Durveqtix in Verkehr bringt, auch Daten aus einer registerbasierten Studie mit Patienten vorlegen, die mit dem Arzneimittel behandelt wurden, um dessen langfristige Sicherheit und Wirksamkeit zu untersuchen, sowie Daten aus einer Langzeitstudie.

Das Unternehmen wird den Patienten oder ihren Betreuungspersonen sowie den Angehörigen der Gesundheitsberufe Schulungsmaterialien mit Informationen über Nutzen, Risiken und Unsicherheiten in Bezug auf die Langzeitwirkungen und die Sicherheit des Arzneimittels zur Verfügung stellen. Den Patienten muss außerdem eine Patientenkarte ausgehändigt werden, um das medizinische Fachpersonal darüber zu informieren, dass sie mit Durveqtix behandelt wurden.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Durveqtix, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Durveqtix kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Durveqtix werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Durveqtix

Weitere Informationen zu Durveqtix finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/durveqtix.