

Ths.Ds Lê Hoàng Minh -

Cơ quan Quản lý Dược phẩm Châu Âu (European Medicines Agency - EMA) vừa thông báo công nhận giấy phép lưu hành sản phẩm ở châu Âu cho Roctavian (valoctocogene roxaparvovec) để điều trị bệnh haemophilia A thông thường ở nam giới nhưng không có chất ức chế yếu tố VIII (tức kháng thể sinh ra bởi hệ thống miễn dịch và làm yếu tố VIII hoạt động kém hiệu quả) và không có kháng thể với adenovirus serotype 5 (AAV5).

Bệnh nhân bệnh haemophilia A không thể sinh ra yếu tố VIII (một protein cần thiết cho đông máu và có tác dụng làm ngừng chảy máu); bệnh nhân có khuynh hướng chảy máu và kéo dài thời gian chảy máu, ví dụ sau phẫu thuật hoặc chấn thương. Haemophilia A là bệnh hiếm gây suy giảm chất lượng cuộc sống ở 0.7 trên 10,000 nam giới ở châu Âu. Bệnh kéo dài suốt đời và đe dọa tính mạng khi chảy ra chảy máu não, tuỷ sống hoặc ruột.



Liều pháp gen đũa tiên đũa đũa u trũa bũa nh haemophilia A thũa nũa ng

Viết bởi Biên tập viên

Chỉnh sửa, 03 Tháng 7 2022 14:47 - Lần cập nhật cuối Chỉnh sửa, 03 Tháng 7 2022 14:52

Hầu hết các thuốc hiện nay đũa cũa phép đũa đũa u trũa haemophilia A chứa yếu tố VIII, đũa thay thế protein bị thiếu. Đũa u trũa hiũa nũa i cũa nũa 1 hoặc nhiều mũi tiêm trên tuũa nũa hoặc trên tháng và đũa u trũa cũa đũa i. Liều pháp đũa u trũa mũa i giúp bũa nh nhân có thể không phải tiêm thuốc thường xuyên.

Roctavian là liều pháp gen đũa u tiên đũa đũa u trũa haemophilia A. Hoạt chất là Roctavian, valoctocogene roxaparvovec, đũa trên một loại virus (adenovirus serotype 5-AAV5) đũa cũa đũa u chứa không gây bệnh trên người. Virus này chứa gen tạo ra yếu tố VIII; một khi đũa cũa tiêm một lần duy nhất vào cơ thể bệnh nhân, nó đũa cũa kì vọng mang gen yếu tố VIII vào tế bào gan và sản xuất ra yếu tố VIII bị mất. Đũa u này giúp cho máu đông đũa cũa đũa dàng và ngăn ngừa chảy máu hoặc giảm số đợt chảy máu. Hiũa u quũa đũa u trũa tích cũa cũa duy trì lên đũa nũa 2 năm sau một mũi tiêm đũa cũa báo cáo trên gần 100 bệnh nhân trong nghiên cứu chính và lên đũa nũa 5 năm ở vài bệnh nhân ở các thử nghiệm hỗ trợ thực hiện bởi các số đăng ký.

Khuyến cáo EMA đũa vào kết quả pha 3 ở nghiên cứu đũa nũa nhóm (nghiên cứu chính), nghiên cứu không ngẫu nhiên ở 134 bệnh nhân nam bị haemophilia A không có tiền sử chảy máu ở yếu tố VIII và không phát hiện có kháng thể kháng yếu tố VIII. 2 năm sau dùng liều pháp này, đũa liều hiũa u quũa cho thấy liều pháp làm tăng đáng kể mức hoạt tính yếu tố VIII ở đa số bệnh nhân. Tỷ lệ chảy máu giảm 85% và hầu hết bệnh nhân (128) không cần đũa u trũa thay thế bằng yếu tố VIII.

Tác dụng không mong muốn phổ biến của liều pháp gen đũa trên AAV (Roctavian) đã đũa cũa báo cáo là đũa cũa tính trên gan do đáp ứng miễn dịch gây ra và đũa cũa tăng lên mức enzym gan ALT (alanine aminotransferase). Tình trạng này có thể đũa u trũa thành công bằng corticosteroid. Tác dụng không mong muốn khác bao gồm: đau đũa u, đau khớp, buồn nôn.

Bệnh nhân đũa u trũa với Roctavian số đũa cũa giám sát trong 15 năm đũa đũa mũa o tính an toàn và hiũa u quũa lâu dài của liều pháp gen này.

Tiếp cận thông tin số đũa liũa u hiũa nũa có, ủy ban và các liũa u pháp tiũa nũa bị (CAT), hiũa đũa ng các chuyên gia EMA và thuốc đũa trên gen và tế bào cho rằng lợi ích của Roctavian vượt trội so với nguy cơ có thể xảy ra ở bệnh nhân mức haemophilia A. Ý kiến chấp thuận bởi ủy ban các số nũa phẩm thuốc dùng trên người (Committee for Medicinal Products for Human Use - CHMP) của EMA là bước trung gian trên con đũa đũa ng Roctavian tiếp cận bệnh nhân. Ý kiến này số đũa cũa gũa i đũa nũa y ban châu Âu đũa quy định đũa nh chấp thuận giũa y phép liũa u hành số nũa phẩm trên thị trường châu Âu rằng liũa nũa.

Liều pháp gen đầu tiên để điều trị bệnh haemophilia A thế kỷ mới

Viết bởi Biên tập viên

Chỉnh sửa, 03 Tháng 7 2022 14:47 - Lần cập nhật cuối: Chỉnh sửa, 03 Tháng 7 2022 14:52

Ghi chú:

- Công ty đăng ký của Roctavian là BioMarin International Limited.
- Roctavian được cấp thị trường thuốc đặc trị bệnh hiếm vào ngày 21 tháng 3 năm 2016. Sau ý kiến tích cực của CHMP, Ủy ban thuốc đặc trị bệnh hiếm (Committee for Orphan Medicinal Products - COMP) sẽ đánh giá thị trường thuốc hiếm này nên được tiếp thị hay không.
- Roctavian được công nhận hợp pháp vào chương trình PRIME vào ngày 27 tháng 1 năm 2017 để điều trị bệnh haemophilia A.

Nguồn: <https://www.ema.europa.eu/en/news/first-gene-therapy-treat-severe-haemophilia>