Li□u pháp gen đ□u tiên đ□ đi□u tr□ b□nh haemophilia A th□ n□ng

Vi□t b□i Biên t□p viên
Ch□ nh□t, 03 Tháng 7 2022 14:47 - L□n c□p nh□t cu□i Ch□ nh□t, 03 Tháng 7 2022 14:52

Ths.Ds Lê Hoàng Minh -□

C□ quan Qu□n lý D□□c ph□m Châu Âu (European Medicines Agency - EMA) v□a thông báo công nh□n gi□y phép l□u hành s□n ph□m □ châu Âu cho Roctavian (valoctocogene roxaparvovec) đ□ đi□u tr□ b□nh haemophilia A th□ n□ng □ ng□□i l□n mà không có ch□t □c ch□ y□u t□ VIII (t□ kháng th□ sinh ra b□i h□ th□ng mi□n d□ch và làm y□u t□ VIII ho□t đ□ng kém hi□u qu□) và không có kháng th□ v□i adenovirus serotype 5 (AAV5).

B□nh nhân b□ b□nh haemophilia A không th□ sinh ra y□u t□ VIII (m□t protein c□n thi□t cho đông máu và có tác d□ng làm ng□ng ch□y máu); b□nh nhân có khuynh h□□ng ch□y máu và kéo dài th□i gian ch□y máu, ví d□ sau ph□u thu□t ho□c ch□n th□□ng. Haemophilia A là b□nh hi□m gây suy ki□t □nh h□□ng x□p x□ 0.7 trên 10,000 ng□□i □ châu Âu. B□nh kéo dài su□t đ□i và đe do□ tính m□ng khi x□y ra ch□y máu □ não, tu□ s□ng ho□c □ ru□t.



H□u h□t các thu□c hi□n nay đ□□c c□p phép đ□ đi□u tr□ haemophilia A ch□a y□u t□ VIII, đ□ thay th□ protein b□ thi□u. Đi□u tr□ hi□n t□i c□n 1 ho□c nhi□u mũi tiêm trên tu□n ho□c trên tháng và đi□u tr□ c□ đ□i. Li□u pháp đi□u tr□ m□i giúp b□nh nhân có th□ không ph□i tiêm thu□c th□□ng xuyên.

Roctavian là li□u pháp gen đ□u tiên đ□ đi□u tr□ haemophilia A. Ho□t ch□t là Roctavian, valoctocogene roxaparvovec, d□a trên m□t lo□i virus (adenovirus serotype 5-AAV5) đ□□c đi□u ch□nh đ□ không gây b□nh trên ng□□i. Virus này ch□a gen t□o ra y□u t□ VIII; m□t khi đ□□c tiêm m□t l□n duy nh□t vào c□ th□ b□nh nhân, nó đ□□c kì v□ng mang gen y□u t□ VIII vào t□ bào gan và s□n xu□t ra y□u t□ VIII b□ m□t. Đi□u này giúp cho máu đông đ□□c d□ dàng và ngăn ng□a ch□y máu ho□c gi□m s□ đ□t ch□y máu. Hi□u qu□ đi□u tr□ tích c□c đ□□c duy trì lên đ□n 2 năm sau m□t mũi tiêm đ□□c báo cáo trên g□n 100 b□nh nhân trong nghiên c□u chính và lên đ□n 5 năm □ vài b□nh nhân □ các th□ nghi□m h□ tr□ th□c hi□n b□i c□ s□ đăng ký.

Khuy□n cáo EMA d□a vào k□t qu□ pha 3 □ nghiên c□u đ□n nhóm (nghiên c□u chính), nghiên c□u không ng□u nhiên □ 134 b□nh nhân nam b□ haemophilia A không có ti□n s□ ch□a ch□t □c ch□ y□u t□ VIII và không phát hi□n có kháng th□ kháng y□u t□ VIII. 2 năm sau dùng li□u pháp này, d□ li□u hi□u qu□ cho th□y li□u pháp làm tăng đáng k□ m□c ho□t tính y□u t□ VIII □ đa s□ b□nh nhân. T□ l□ ch□y máu gi□m 85% và h□u h□t b□nh nhân (128) không c□n đi□u tr□ thay th□ b□ng y□u t□ VIII.

Tác d□ng không mong mu□n ph□ bi□n c□a li□u pháp gen d□a trên AAV (Roctavian) đã đ□□c báo cáo là đ□c tính trên gan do đáp □ng mi□n d□ch gây ra và đ□c tr□ng b□i s□ tăng lên m□c enzym gan ALT (alanine aminotransferase). Tình tr□ng này có th□ đi□u tr□ thành công b□ng corticosteroid. Tác d□ng không mong mu□n khác bao g□m: đau đ□u, đau kh□p, bu□n nôn.

B□nh nhân đi□u tr□ v□i Roctavian s□ đ□□c giám sát trong 15 năm đ□ đ□m b□o tính an toàn và hi□u qu□ lâu dài c□a li□u pháp gen này.

Ti□p c□n t□ng th□ c□ s□ d□ li□u hi□n có, □y ban v□ các li□u pháp ti□n b□ (CAT), h□i đ□ng các chuyên gia EMA v□ thu□c d□a trên gen và t□ bào cho r□ng l□i ích c□a Roctavian v□□t tr□i so v□i nguy c□ có th□ x□y ra □ b□nh nhân m□c haemophilia A. Ý ki□n ch□p thu□n b□i □y ban các s□n ph□m thu□c dùng trên ng□□i (Committee for Medicinal Products for Human Use - CHMP) c□a EMA là b□□c trung gian trên con đ□□ng Roctavian ti□p c□n b□nh nhân. Ý ki□n này s□ đ□□c g□i đ□n □y ban châu Âu đ□ quy□t đ□nh ch□p thu□n gi□y phép l□u hành s□n ph□m trên th□ tr□□ng châu Âu r□ng l□n.

Ghi chú:

- C□ s□ đăng ký c□a Roctavian là BioMarin International Limited.
- Roctavian đ□□c thi□t k□ nh□ Thu□c đ□c tr□ b□nh hi□m vào ngày 21 tháng 3 năm 2016. Sau ý ki□n tích c□c c□a CHMP, U□ ban thu□c đ□c tr□ b□nh hi□m (Committee for Orphan Medicinal Products - COMP) s□ đánh giá thi□t k□ thu□c hi□m này nên đ□□c ti□p t□c hay không.

- Roctavian đ□□c công nh□n h□p pháp vào ch□□ng trình PRIME vào ngày 27 tháng 1 năm 2017 đ□ đi□u tr□ b□nh haemophilia A.

Ngu□n: https://www.ema.europa.eu/en/news/first-gene-therapy-treat-severe-haemophilia