

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 châu Âu cho Roctavian (valoctocogene roxaparvovec) để điều trị bệnh haemophilia A thế nào người bệnh mà 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 người ở châu Âu. Bệnh kéo dài suốt đời và đe dọa tính mạng khi chảy ra chảy máu não, tuỷ sống hoặc ruột.



Hầu hết các thuốc hiện nay đều có phép để điều trị haemophilia A chứa yếu tố VIII, để thay thế protein bị thiếu. Điều trị hiện tại cần 1 hoặc nhiều mũi tiêm trên tuần hoặc trên tháng và điều trị rất đắt. Liều pháp điều trị mới giúp bệnh nhân có thể không phải tiêm thuốc thường xuyên.

Roctavian là liều pháp gen đầu tiên để điều trị haemophilia A. Hoạt chất là Roctavian, valoctocogene roxaparvovec, dựa trên một loại virus (adenovirus serotype 5-AAV5) để đưa đến chỗ bệnh không gây bệnh trên người. Virus này chứa gen tạo ra yếu tố VIII; một khi được tiêm một lần duy nhất vào cơ thể bệnh nhân, nó được kích hoạt mang gen yếu tố VIII vào tế bào gan và sản xuất ra yếu tố VIII mới. Điều trị này giúp cho máu đông được dễ dàng và ngăn ngừa chảy máu hoặc giảm số đợt chảy máu. Hiện quả điều trị tích cực được duy trì lên đến 2 năm sau một mũi tiêm được báo cáo trên gần 100 bệnh nhân trong nghiên cứu chính và lên đến 5 năm ở vài bệnh nhân ở các thử nghiệm hỗ trợ thực hiện bởi các số đăng ký.

Khuyến cáo EMA dựa vào kết quả pha 3 ở nghiên cứu đầu 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, dữ liệu hiện quả 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 điều trị thay thế bằng yếu tố VIII.

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

Bệnh nhân điều trị với Roctavian sẽ được giám sát trong 15 năm để đảm bảo tính an toàn và hiện quả lâu dài của liều pháp gen này.

Tiếp cận thông tin về số dữ liệu hiện có, ủy ban và các liều pháp tiền bối (CAT), hội đồng các chuyên gia EMA và thuốc dựa trên gen và tế bào cho rằng lợi ích của Roctavian vượt trội so với nguy cơ có thể xảy ra ở bệnh nhân mắc haemophilia A. Ý kiến chấp thuận bởi ủy ban các sản phẩm thuốc dùng trên người (Committee for Medicinal Products for Human Use - CHMP) của EMA là bước trung gian trên con đường Roctavian tiếp cận bệnh nhân. Ý kiến này sẽ được công bố ở ủy ban châu Âu để quyết định chấp thuận giấy phép lưu hành sản phẩm trên thị trường châu Âu riêng lẻ.

Ghi chú:

- Công ty đăng ký của Roctavian là BioMarin International Limited.
- Roctavian được cấp thị trường nội địa Thuộc địa của Vương quốc Anh vào ngày 21 tháng 3 năm 2016. Sau ý kiến tích cực của CHMP, Ủy ban thuộc địa của Vương quốc Anh (Committee for Orphan Medicinal Products - COMP) sẽ đánh giá thị trường nội địa của thuốc 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>