

Kurzbericht Arzneimittelzulassung vom 18.10.2024

Voydeya[®] (Wirkstoff: Danicopan)

Zulassung in der Schweiz: 30.04.2024

Filmtabletten zur Zusatzbehandlung bei klinisch relevanter extravaskulärer Hämolyse (EVH) bei Erwachsenen mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH)

Über das Arzneimittel

Voydeya enthält den Wirkstoff Danicopan. Es wird angewendet zur Behandlung von klinisch relevanter extravaskulärer Hämolyse (EVH) bei erwachsenen Patienten mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH). Vorgängig hatten die Patientinnen und Patienten eine mindestens 6-monatige Behandlung mit einem C5-Inhibitor, einem Arzneimittel gegen PNH, das die intravaskuläre Hämolyse therapiert. Die Patientinnen und Patienten erhalten Voydeya zusätzlich zu ihrem aktuellen Arzneimittel gegen PNH

(den C5-Inhibitoren Ravulizumab oder Eculizumab).

Die Anzeichen oder Symptome einer EVH, die im Rahmen einer PNH auftreten kann, sind Blutarmut (Anämie) und damit verbundene Symptome wie Müdigkeit und Kurzatmigkeit.

Da es sich bei PNH um eine seltene, schwere und potenziell lebensbedrohliche Krankheit handelt, wurde das Arzneimittel Voydeya als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet.

Wirkung

Voydeya enthält den Wirkstoff Danicopan. Danicopan blockiert ein Protein namens Faktor D, das ein Teil des körpereigenen Ab-

wehrsystems, des sogenannten «Komplementsystems», ist. Danicopan verhindert, dass das körpereigene Immunsystem die roten Blutkörperchen ausserhalb des Gefässsystems zerstört (extravaskuläre Hämolyse).

Anwendung

Voydeya ist rezeptpflichtig und als Filmtabletten in der Dosierung mit 50 mg oder 100 mg Danicopan erhältlich. Die empfohlene Anfangsdosis beträgt 150 mg dreimal täglich

im Abstand von jeweils etwa 8 Stunden. Die Tabletten werden unzerkaut geschluckt. Die Tabletten können mit oder ohne Mahlzeit eingenommen werden.

Je nach Ansprechen auf die Behandlung kann auf Anweisung des Arztes bzw. der Ärztin die Dosis auf dreimal täglich 200 mg Voydeya erhöht werden. Voydeya wird zusätzlich zum aktuell verschriebenen PNH-Arzneimittel (Ravulizumab oder Eculizumab) eingenommen.

PNH ist eine chronische Erkrankung und die Zusatztherapie mit Voydeya soll von Patientinnen und Patienten lebenslang angewendet werden, ausser wenn das Absetzen von Voydeya aus medizinischen Gründen angezeigt ist.

Wirksamkeit

Die Wirksamkeit von Voydeya als Zusatztherapie zu Ravulizumab oder Eculizumab bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit PNH und einer klinisch relevanten EVH wurde in der Studie ALXN2040-PNH-301 untersucht. Die 86 an der Studie teilnehmenden Patientinnen und Patienten waren in den letzten 6 Monaten mit einer stabilen Dosis eines C5-Inhibitors behandelt worden und hatten eine Anämie (Hämoglobin [Hb] \leq 9.5 g/dL) mit oder ohne Transfusionsunterstützung. Die Studienteilnehmenden erhielten zu einer Grundbehandlung mit Ravulizumab oder Eculizumab während 12 Wochen entweder Voydeya oder Placebo (Scheinmedikation) und während weiterer 12 Wochen

wurden alle Patientinnen und Patienten zusätzlich zur Grundbehandlung mit Voydeya behandelt.

Die Zusatzbehandlung mit Voydeya führte zu einem statistisch signifikanten und klinisch bedeutsamen Anstieg des Hb-Werts von den Ausgangswerten bis zur Woche 12 im Vergleich zur Placebo-Behandlung.

In der mit Voydeya behandelten Gruppe verzeichneten 59.5 % der Patientinnen und Patienten eine Hb-Erhöhung von $>$ 2.0 g/dL im Vergleich zu 0% in der Placebo-Gruppe.

Zudem konnte bei 83.3 % der Patientinnen und Patienten in der Voydeya-Gruppe eine Transfusion vermieden werden gegenüber 38.1 % in der Placebo-Gruppe.

Vorsichtsmassnahmen, unerwünschte Wirkungen & Risiken

Voydeya darf bei einer Überempfindlichkeit gegenüber dem Wirkstoff oder einem der Hilfsstoffe nicht angewendet werden.

Die häufigsten unerwünschten Wirkungen (Betrifft mehr als 1 von 10 Anwenderinnen und Anwender) sind Fieber oder erhöhte Temperatur, Kopfschmerzen, Durchfall, Übelkeit, Infektionen der oberen Atemwege, Müdigkeit, Erbrechen, Halsschmerzen, Schmerzen in den Gelenken, Arm- und

Beinschmerzen, erhöhte Leberenzymwerte im Blut, Abnahme der roten Blutkörperchen (Anämie)

Alle Vorsichtsmassnahmen, Risiken und weitere mögliche unerwünschte Wirkungen sind in der Patientinnen- und Patienteninformation (Packungsbeilage) sowie in der Fachinformation aufgeführt.

Begründung des Zulassungsentscheids

Die durchgeführte Studie zeigte eine signifikante und klinisch bedeutsame Verbesserung des Hämoglobinwerts bei den Patientinnen und Patienten, die mit Voydeya behandelt wurden.

Trotz der geringen Zahl von Patientinnen und Patienten und der relativ kurzen Dauer der Beobachtungsphase wird die Wirksamkeit als überzeugend angesehen und das Sicherheitsprofil als akzeptabel betrachtet. Angesichts der Seltenheit der Erkrankung

und des bestehenden medizinischen Bedarfs überwiegt der Nutzen dieses Arzneimittels die damit verbundenen Risiken.

Swissmedic hat daher das Arzneimittel Voydeya mit dem Wirkstoff Danicopan für

die Schweiz als Zusatzbehandlung für Patientinnen und Patienten mit PNH zugelassen, die eine klinisch signifikante EVH haben.

Weitere Informationen zum Arzneimittel

Information für medizinisches Fachpersonal:
[Fachinformation Voydeya®](#)

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Information für Patientinnen und Patienten
(Packungsbeilage): [Patientinnen- und Patienteninformation Voydeya®](#)

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Kurzbericht Arzneimittelzulassung ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirksamkeit oder die Sicherheit dieses Medikaments beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.