



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/741937/2015
EMA/H/C/000477

EPAR - sammendrag for offentligheden

Aldurazyme

laronidase

Dette er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Aldurazyme. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om anvendelsesbetingelserne for Aldurazyme.

Hvad er Aldurazyme?

Aldurazyme er en opløsning til infusion (dråbetilførsel i en vene), der indeholder det aktive stof laronidase.

Hvad anvendes Aldurazyme til?

Aldurazyme er indiceret til patienter med den bekræftede diagnose Mucopolysaccharidosis I (MPS I; α -L-iduronidase-mangel) til behandling af sygdommens ikke-neurologiske symptomer (symptomer, der ikke er forbundet med hjernen eller nerverne). MPS I er en sjælden arvelig sygdom, hvor niveauet for α -L-iduronidase-enzymaktivitet er meget lavere end normalt. Dette medfører, at visse stoffer kaldet glykosaminoglycaner ikke nedbrydes og således hober sig op i de fleste af kroppens organer og beskadiger dem. De ikke-neurologiske symptomer på MPS I er f.eks. en forstørret lever, stive led, som gør det svært at bevæge sig, nedsat lungefunktion, hjertesygdom og øjensygdom.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Hvordan anvendes Aldurazyme?

Behandlingen med Aldurazyme skal overvåges af en læge med erfaring i behandling af patienter med MPS I eller andre arvelige stofskiftesygdomme. Indgivelsen af Aldurazyme skal ske på et hospital eller en klinik, hvor der er genoplivningsudstyr tilgængeligt, og det kan være nødvendigt at give patienterne medicin inden infusionen for at forebygge en allergisk reaktion. Aldurazyme indgives som en infusion i en vene én gang om ugen. Lægemidlet er beregnet til langtidsbehandling.



Hvordan virker Aldurazyme?

Det aktive stof i Aldurazyme, laronidase, er en kopi af det humane enzym α -L-iduronidase. Det fremstilles ved hjælp af en metode kaldet "rekombinant dna-teknologi": Enzymet fremstilles af celler, der har fået indsat et gen (DNA), som gør dem i stand til at producere laronidase. Laronidase anvendes som erstatningsterapi, hvilket betyder, at det erstatter det enzym, der mangler hos patienter med MPS I. Dette holder symptomerne på MPS I under kontrol, og patientens livskvalitet forbedres.

Hvordan blev Aldurazyme undersøgt?

Aldurazyme er blevet sammenlignet med placebo (en virkningsløs behandling) hos 45 patienter i alderen seks år og derover med den bekræftede diagnose MPS I. Den vigtigste målestok for virkningen var den forcerede vitalkapacitet (målestok for lungefunktionen) og den afstand, patienterne kunne gå på seks minutter. Dette blev målt før og efter 26 ugers behandling. Efter dette blev undersøgelsen videreført i fire år, og alle patienter blev behandlet med Aldurazyme.

Aldurazyme er også blevet undersøgt hos 20 børn under fem år, som havde fået Aldurazyme i et år. Undersøgelsen så navnlig på lægemidlets sikkerhed, men målte også dets evne til at reducere GAG-niveauet i urinen og leverens størrelse.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Aldurazyme?

Undersøgelsen viste, at Aldurazyme efter 26 uger havde forbedret både patienternes forcerede vitalkapacitet og den afstand, de kunne gå. Virkningen blev fastholdt i op til fire år.

Hos børn under fem år reducerede Aldurazyme GAG-niveauet i urinen med ca. 60 %. Halvdelen af de behandlede børn havde en lever af normal størrelse ved undersøgelsens slutning.

Hvilken risiko er der forbundet med Aldurazyme?

De fleste af bivirkningerne ved Aldurazyme var snarere infusionsrelaterede reaktioner end reaktioner forårsaget af selve lægemidlet. Nogle af disse var svære i intensitet, men antallet af bivirkninger aftog med tiden. De hyppigste bivirkninger ved Aldurazyme hos patienter over fem år (som ses hos flere end 1 ud af 10 patienter) er hovedpine, kvalme, mavesmerter, udslæt, artropati (ledskader), artralgi (ledsmerter), rygsmerte, smerter i ekstremiteterne (hænder og fødder), rødme, pyreksi (feber) og reaktioner på infusionsstedet. Hos patienter under fem år er de almindeligt forekommende bivirkninger (som optræder hos flere end 1 ud af 10 patienter) forhøjet blodtryk, faldende ilt saturation (en målestok for lungefunktionen), hjertebanken, feber og kulderystelser. Den fuldstændige liste over alle de indberettede bivirkninger ved Aldurazyme fremgår af indlægssedlen.

Næsten alle patienter, som får Aldurazyme, danner antistoffer (proteiner, der dannes som reaktion på Aldurazyme). Det vides endnu ikke helt, hvilken indvirkning disse har på lægemidlets sikkerhed og virkning.

Aldurazyme må ikke anvendes til personer, som er overfølsomme over for laronidase eller et af de øvrige indholdsstoffer.

Hvorfor blev Aldurazyme godkendt?

CHMP besluttede, at Aldurazyme er virksomt til at kontrollere symptomerne på MPS I. Udvalget besluttede, at fordelene ved Aldurazyme var større end risiciene, og anbefalede derfor udstedelse af en markedsføringstilladelse for Aldurazyme.

Aldurazyme blev oprindeligt godkendt under "særlige omstændigheder", da der på godkendelsestidspunktet kun forelå sparsomme oplysninger som følge af sygdommens sjældenhed. Efter at virksomheden havde fremlagt de ubedte yderligere oplysninger, blev de "særlige omstændigheder" ophævet den 16. december 2015.

Andre oplysninger om Aldurazyme

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Aldurazyme den 10. juni 2003.

Den fuldstændige EPAR for Aldurazyme findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Aldurazyme, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev senest ajourført i 11-2015.