



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Aldurazyme

Iaronidaas

See on ravimi Aldurazyme Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiloo andmist; samuti esitatakse komitee soovitusel, kuidas ravimit kasutada.

Mis on Aldurazyme?

Aldurazyme on infusioonilahus (veeni tilgutatav lahus), mis sisaldab toimeainena Iaronidaasi.

Milleks Aldurazymet kasutatakse?

Aldurazymet kasutatakse I tüüpi mukopolüsahharidoosi (MPS I, α -L-iduronidaasi puudulikkuse) kinnitatud diagnoosiga patsientidel haiguse mitteneuroloogiliste (ei ole seotud aju ja närvidega) sümptomite ravimiseks. MPS I on haruldane pärilik haigus, mille korral ensüümi α -L-iduronidaasi aktiivsus on normaalsest palju väiksem. See tähendab, et teatud ained (glükosaminoglükaanid) ei lagune, vaid kogunevad enamikku elundeist ning kahjustavad neid. MPS I mitteneuroloogilisteks sümptomiteks võivad olla maksa suurenemine, liigeste jäikus, mis raskendab liigutamist, kopsumahu vähenemine, südamehaigused ning silmahaigused.

Aldurazyme on retseptiravim.

Kuidas Aldurazymet kasutatakse?

Ravi Aldurazymega võib toimuda üksnes MPS I või muude pärilike ainevahetushaiguste ravis kogenud arsti järelevalve all. Aldurazymet tohib manustada ainult haiglas või kliinikus, kus on olemas elustusseadmed, kusjuures allergiliste reaktsioonide vältimiseks võib olla vaja anda patsiendile enne tilgutusprotseduuri teatud ravimeid. Aldurazymet manustatakse üks kord nädalas veeniinfusioonina. Ravim on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks.



Kuidas Aldurazyme toimib?

Aldurazyme toimeaine laronidaas on inimorganismis leiduva loodusliku ensüümi α -L-iduronidaasi koopia. Seda valmistatakse rekombinant-DNA-tehnika abil: ensüümi toodavad rakud, millesse on viidud laronidaasi teket võimaldav geen (DNA). Laronidaasi kasutatakse ensüümi-asendusraviks, st see asendab I tüüpi mukopolüsahharidoosiga patsiendi organismis puuduvat ensüümi. See aitab leevendada MPS I sümptomeid ja parandada patsiendi elukvaliteeti.

Kuidas Aldurazymet uuriti?

Aldurazymet võrreldi platseeboga (näiv ravim) 45-I vähemalt 6-aastaselt patsiendil, kellel oli MPS I kinnitatud diagnoos. Efektiivsuse põhinäitajad olid forsseeritud vitaalkapatsiteet (FVC – suurim õhumaht, mille patsient suudab pärast suurimat sissehingamist jõuliselt välja hingata) ja teepikkus, mille patsiendid suutsid läbida kuue minuti jooksul. Efektiivsusnäitajaid mõõdeti enne ja 26 nädalat pärast ravi. Seejärel jätkus uuring kuni neli aastat ja kõiki patsiente raviti Aldurazymega.

Aldurazymet uuriti ka 20-I alla 5-aastaselt lapsel, kes said Aldurazymet ühe aasta vältel. Uuringus vaadeldi põhiliselt ravimi ohutust, kuid mõõdeti ka ravimi võimet vähendada glükosaminoglükaanide sisaldust uriinis ja maksa suurus.

Milles seisneb uuringute põhjal Aldurazyme kasulikkus?

Uuring näitas, et Aldurazyme parandab 26-nädalase ravi järel nii patsientide forsseeritud vitaalkapatsiteeti kui ka kõndimissuutlikkust. See mõju kestis kuni neli aastat.

Alla 5-aastastel lastel vähendas Aldurazyme glükosaminoglükaanide sisaldust uriinis 60%. Uuringu lõpuks oli pooltel ravitud lastest maks normaalse suurusega.

Mis riskid Aldurazymega kaasnevad?

Enamik Aldurazymega kaasnevatest kõrvalnähtudest on reaktsioonid, mis on tingitud infusioonist, mitte ravimist endast. Mõned reaktsioonid on rasked, kuid aja jooksul kõrvalnähtude arv väheneb.

Aldurazyme kõige sagedamad kõrvalnähud üle 5-aastastel patsientidel (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) on peavalu, iiveldus, kõhuvalu, lööve, artropaatia (liigesekahjustus), liigesevalu, seljavalu, valu kätes ja jalgades, õhetus, pürekia (palavik) ja infusioonikoha reaktsioonid. Alla 5-aastastel patsientidel on kõige sagedamad kõrvalnähud (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) kõrgenenud vererõhk, vere hapnikuküllastuse (kopsutalitluse näitaja) vähenemine, tahhükardia (südame löögisageduse suurenemine), pürekia (palavik) ja külmavärinad. Aldurazyme kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Peaaegu kõigil Aldurazymet saavatel patsientidel tekivad organismis antikehad (reaktsioonina Aldurazymele tekkivad valgud). Antikehade mõju ravimi ohutusele ja efektiivsusele ei ole veel täielikult selge.

Aldurazymet ei tohi kasutada patsientidel, kes on laronidaasi või selle ravimi mis tahes muu koostisaine suhtes ülitundlikud (allergilised).

Miks Aldurazyme heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et Aldurazyme on MPS I sümptomite reguleerimisel efektiivne. Komitee otsustas, et Aldurazyme kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ning soovitas anda ravimi müügiloa.

Aldurazyme kiideti esialgu heaks erandkorras, sest harvaesineva haiguse tõttu ei olnud heakskiitmise ajal võimalik saada Aldurazyme kohta täielikku teavet. Et ettevõtte esitas vajaliku lisateabe, tühistati müügiloa erandkorras väljastatus 16. detsembril 2015.

Muu teave Aldurazyme kohta

Euroopa Komisjon andis Aldurazyme müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 10. juunil 2003.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Aldurazyme kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports) Kui vajate Aldurazymega toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 11-2015.