



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Aldurazyme

laronidáz

Ez a dokumentum az Aldurazyme-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az Aldurazyme alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer az Aldurazyme?

Az Aldurazyme oldatos infúzió, amelynek hatóanyaga a laronidáz.

Milyen betegségek esetén alkalmazható az Aldurazyme?

Az Aldurazyme-et a bizonyítottan diagnosztizált mukopoliszacharidózis I-ben (MPS I; α -L-iduronidáz-hiány) szenvedő betegeknél alkalmazzák a betegség nem neurológiai (az aggyal vagy az idegekkel nem kapcsolatos) tüneteinek kezelésére. Az MPS I egy ritka, örökletes betegség, amelynél az α -L-iduronidáz enzim aktivitásának szintje a normálisnál sokkal alacsonyabb. Ez azzal jár, hogy a glükózaminoglikán (GAG) nevű anyagok nem bontódnak le, így felgyülemlenek a test legtöbb szervében, és károsítják azokat. Az MPS I nem neurológiai jellegű tünete lehet a máj megnagyobbodása, az ízületi merevség, amely nehézkessé teszi a mozgást, a csökkent tüdőkapacitás, a szívbetegség és a szembetegség.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni az Aldurazyme-et?

Az Aldurazyme-kezelést az MPS I-ben, illetve más örökletes anyagcsere-betegségekben szenvedő betegek kezelésében jártas orvosnak kell felügyelnie. Az Aldurazyme-et újraélesztő berendezéssel rendelkező kórházban vagy klinikán kell beadni, és a betegeknél az infúzió beadása előtt az allergiás reakciók megelőzése érdekében más gyógyszerekre is szükségük lehet. Az Aldurazyme-et hetente egyszer, infúzióban kell beadni. A készítmény hosszú távú alkalmazásra szolgál.



Hogyan fejt ki hatását az Aldurazyme?

Az Aldurazyme hatóanyaga, a laronidáz az α -L-iduronidáz humán enzim másolata. A „rekombináns DNS-technológia” néven ismert módszerrel állítják elő: az enzimet olyan sejtek termelik, amelyekbe olyan gént (DNS-t) juttattak, amelynek hatására képes a laronidáz előállítására. A laronidázt „enzimpótló terápiaként” alkalmazzák, ami azt jelenti, hogy helyettesíti az MPS I-ben szenvedő betegeknek hiányzó enzimét. Ez kontrollálja az MPS I tüneteit, és javítja a beteg életminőségét.

Milyen módszerekkel vizsgálták az Aldurazyme-et?

Az Aldurazyme-et placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze 45, legalább hatéves, diagnosztizált MPS I-ben szenvedő betegnél. A fő hatékonysági mutató az erőltetett kilégzési vitálkapacitás (FVC, a tüdő működésének mutatója) volt, valamint az, hogy a betegek milyen messzire tudtak elsétálni hat perc alatt. Ezeket 26 hétnyi kezelés előtt és után mérték. Ezt követően a vizsgálat legfeljebb négy éven keresztül folytatódott, és minden beteget Aldurazyme-mel kezeltek.

Az Aldurazyme-et 20, öt évesnél fiatalabb gyermeknél is vizsgálták, akik egy éven keresztül kaptak Aldurazyme-et. A vizsgálat elsősorban a gyógyszer biztonságosságára irányult, de mérték azt is, milyen mértékben képes csökkenteni a vizelet GAG-szintjét és a májtérfogatot.

Milyen előnyei voltak az Aldurazyme alkalmazásának a vizsgálatok során?

A vizsgálat kimutatta, hogy az Aldurazyme 26 hét elteltével egyaránt javította a betegek erőltetett kilégzési vitálkapacitását és járási képességét. A hatás akár négy évig is fennmaradt.

Az öt évesnél fiatalabb gyermekeknél az Aldurazyme körülbelül 60%-kal csökkentette a vizelet GAG-szintjét. A kezelt gyermekek felének normális méretű volt a mája a vizsgálat végén.

Milyen kockázatokkal jár az Aldurazyme alkalmazása?

Az Aldurazyme alkalmazása során tapasztalt mellékhatások többségét nem maga a gyógyszer, hanem inkább az infúzió beadása okozza. Ezek közül néhány súlyos, a mellékhatások száma azonban idővel csökkenést mutat. Öt évesnél idősebb betegek esetében a leggyakoribb mellékhatások (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) a fejfájás, hányinger, hasi fájdalom, kiütés, ízületi károsodás, ízületi fájdalom, hátfájás, végtagfájdalom, kipirulás, láz, valamint az infúzió beadásának helyén fellépő reakciók. Öt évesnél fiatalabb betegeknek a leggyakoribb mellékhatások (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) a megemelkedett vérnyomás, a csökkent oxigén-telítettség (a tüdő működésének mutatója), a gyors szívverés, a láz és a hidegrázás. Az Aldurazyme alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Aldurazyme-mel kezelt betegek szinte mindegyikénél termelődnek antitestek (az Aldurazyme-re adott válaszként termelődő fehérjék). Ezeknek a gyógyszer biztonságosságára és hatásosságára gyakorolt hatása nem teljesen ismert.

Az Aldurazyme nem alkalmazható olyan személyeknél, akik súlyosan túlérzékenyek (allergiások) a laronidázzal vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben.

Miért engedélyezték az Aldurazyme forgalomba hozatalát?

A CHMP megállapította, hogy az Aldurazyme hatékonyan kontrollálja az MPS I tüneteit. A bizottság megállapította, hogy az Aldurazyme alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Az Aldurazyme forgalomba hozatalát eredetileg „kivételes körülmények” között engedélyezték, mivel a betegség ritka, és az engedélyezés időpontjában korlátozott információ állt rendelkezésre. Miután a vállalat benyújtotta a további szükséges információkat, a „kivételes körülmények” 2015. december 16-án megszűntek.

Az Aldurazyme-mel kapcsolatos egyéb információ

2003. június 10-én az Európai Bizottság az Aldurazyme-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

Az Aldurazyme-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Amennyiben az Aldurazyme-mel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 11-2015.