



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

# Aldurazyme

laronidaza

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Aldurazyme. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Aldurazyme do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania leku.

## Co to jest Aldurazyme?

Aldurazyme to roztwór do infuzji (wlewu dożylnego) zawierający substancję czynną laronidazę.

## W jakim celu stosuje się produkt Aldurazyme?

Lek Aldurazyme stosuje się u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem mukopolisacharydozy typu I (MPS I; niedobór  $\alpha$ -L-iduronidazy) w celu leczenia nieneurologicznych objawów choroby (objawy niezwiązane z mózgiem lub nerwami). MPS I jest rzadką chorobą dziedziczną, w której poziom aktywności enzymu  $\alpha$ -L-iduronidazy jest znacznie niższy od normalnego poziomu, co powoduje, że niektóre substancje, zwane glikozaminoglikanami, nie są rozkładane i odkładają się w większości organów w organizmie, niszcząc je. Nieneurologicznymi objawami MPS I mogą być np. powiększona wątroba, zeszywnienie stawów utrudniające poruszanie się, mniejsza pojemność płuc, choroby serca i oczu.

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

## Jak stosować produkt Aldurazyme?

Leczenie produktem Aldurazyme powinno odbywać się pod kontrolą lekarza mającego doświadczenie w prowadzeniu pacjentów z MPS I lub z innymi dziedzicznymi chorobami metabolicznymi. Lek Aldurazyme należy podawać w szpitalu lub klinice, gdzie dostępny jest sprzęt do reanimacji, a pacjentom przed podaniem infuzji można podać leki zapobiegające reakcji alergicznej. Aldurazyme podaje się raz w tygodniu w postaci wlewu dożylnego. Lek jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.



## **Jak działa produkt Aldurazyme?**

Substancja czynna leku Aldurazyme, laronidaza, jest kopią enzymu ludzkiego –  $\alpha$ -L-iduronidazy. Enzym jest wytwarzany przez komórki, do których wprowadzono gen (DNA) umożliwiającą im wytwarzanie laronidazy. Laronidazę stosuje się w leczeniu określanym jako substytucja enzymatyczna, co oznacza, że zastępuje ona enzym brakujący u pacjentów z MPS I. Pozwala to kontrolować objawy MPS I, poprawiając jakość życia pacjenta.

## **Jak badano produkt Aldurazyme?**

Lek Aldurazyme porównywano z placebo (leczenie pozorowane) u 45 pacjentów powyżej szóstego roku życia z potwierdzonym rozpoznaniem MPS I. Głównym kryterium oceny skuteczności była natężona pojemność życiowa (ang. Forced Vital Capacity, FVC; ocena czynności płuc) i odległość, jaką pacjenci mogli przejść w ciągu sześciu minut. Parametry te mierzono przed leczeniem i po 26 tygodniach leczenia. Badanie kontynuowano następnie przez niemal cztery lata, a wszystkich pacjentów leczono produktem Aldurazyme.

Lek Aldurazyme badano również u 20 dzieci poniżej piątego roku życia, które otrzymywały lek Aldurazyme przez jeden rok. W badaniu oceniano głównie bezpieczeństwo leku, ale obserwowano również jego wpływ na obniżanie poziomu glikozaminoglikan w moczu oraz zmniejszanie wielkości wątroby.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Aldurazyme zaobserwowano w badaniach?**

W badaniu wykazano, że po 26 tygodniach leczenia produktem Aldurazyme u pacjentów nastąpiła poprawa zarówno pod względem FVC, jak i zdolności chodzenia. Efekt ten utrzymał się przez prawie cztery lata.

U dzieci poniżej piątego roku życia lek Aldurazyme obniżył poziom glikozaminoglikan w moczu o około 60%. Pod koniec badania u połowy dzieci poddanych leczeniu wątroba miała normalną wielkość.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Aldurazyme?**

Większość działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Aldurazyme to raczej objawy poinfuzyjne niż spowodowane działaniem leku. Niektóre z nich są poważne, ale część z tych działań niepożądanych zazwyczaj ustępuje z upływem czasu. Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Aldurazyme występujące u pacjentów powyżej piątego roku życia (obserwowane u więcej niż 1 pacjenta na 10) to: bóle głowy, nudności (mdłości), bóle brzucha, wysypka, bóle stawów (uszkodzenie stawów), artralgia (ból stawów), bóle pleców, bóle kończyn (rąk i nóg), zaczerwienienie, gorączka i reakcje w miejscu podania wlewu dożylnego. U pacjentów poniżej piątego roku życia najczęstsze działania niepożądane (obserwowane u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to: podwyższone ciśnienie krwi, obniżone natlenienie krwi (miara funkcji płuc), tachykardia (przyśpieszenie akcji serca), gorączka i dreszcze. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Aldurazyme znajduje się w ulotce dla pacjenta.

W organizmie prawie wszystkich pacjentów otrzymujących produkt Aldurazyme wytwarzane są przeciwciała (białka produkowane w odpowiedzi na produkt Aldurazyme), lecz ich wpływ na bezpieczeństwo i skuteczność leku nie został do tej pory w pełni poznany.

Leku Aldurazyme nie wolno podawać osobom z silną alergią na laronidazę lub którykolwiek składnik produktu.

### **Na jakiej podstawie zatwierdzono produkt Aldurazyme?**

CHMP uznał, że produkt Aldurazyme pozwala skutecznie kontrolować symptomy MPS I. CHMP zdecydował, że korzyści ze stosowania produktu Aldurazyme przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie leku do obrotu.

Produkt Aldurazyme początkowo zarejestrowano w wyjątkowych okolicznościach, gdyż ze względu na to, że choroba występuje rzadko, w chwili rejestracji informacje na temat leku były ograniczone. Jako że firma dostarczyła wymagane dodatkowe informacje, wyjątkowe okoliczności wygasły w dniu 16 grudnia 2015 r.

### **Inne informacje dotyczące produktu Aldurazyme:**

W dniu 10 czerwca 2003 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie leku Aldurazyme do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Aldurazyme znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports) W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Aldurazyme należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 11.2015.