



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

# Aldurazyme

Iaronidase

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Aldurazyme. O seu objetivo é explicar o modo como o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) avaliou o medicamento a fim de emitir um parecer favorável à concessão de uma autorização de introdução no mercado, bem como as suas recomendações sobre as condições de utilização do Aldurazyme.

## O que é o Aldurazyme?

O Aldurazyme é uma solução para perfusão (administração gota-a-gota) numa veia que contém a substância ativa Iaronidase.

## Para que é utilizado o Aldurazyme?

O Aldurazyme está indicado em doentes com um diagnóstico confirmado de mucopolissacaridose I (MPS I; deficiência de  $\alpha$ -L-iduronidase) para o tratamento dos sintomas não neurológicos (não relacionados com o cérebro ou os nervos) da doença. A MPS I é uma doença rara hereditária em que o nível de atividade da enzima  $\alpha$ -L-iduronidase é muito menor do que o normal. Isso significa que certas substâncias (os glicosaminoglicanos ou GAG) não são degradadas e se acumulam na maior parte dos órgãos, afetando-os. Os sintomas não neurológicos da MPS I podem ser fígado aumentado, rigidez articular que dificulta os movimentos, volume pulmonar reduzido, doença cardíaca e doença ocular.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.

## Como se utiliza o Aldurazyme?

O tratamento com o Aldurazyme deve ser acompanhado por um médico com experiência no tratamento de doentes com MPS I ou outras doenças metabólicas hereditárias. O Aldurazyme deve ser administrado num hospital ou clínica que disponha de equipamento de reanimação. Os doentes podem ter de receber determinados medicamentos antes da perfusão para evitar reações alérgicas. O



Aldurazyme é administrado uma vez por semana por perfusão numa veia. O medicamento destina-se a uso prolongado.

## **Como funciona o Aldurazyme?**

A substância ativa do Aldurazyme, a laronidase, é uma cópia da enzima humana  $\alpha$ -L iduronidase. A enzima é produzida por meio de um método denominado «tecnologia de ADN recombinante»: por células nas quais foi introduzido um gene (ADN) que as torna capazes de produzir a laronidase. A laronidase é utilizada como terapêutica de substituição enzimática, o que significa que substitui a enzima que falta nos doentes com MPS I, permitindo, deste modo, controlar os sintomas da doença e melhorar a qualidade de vida dos doentes.

## **Como foi estudado o Aldurazyme?**

O Aldurazyme foi comparado com um placebo (tratamento simulado) em 45 doentes com seis ou mais anos de idade, com um diagnóstico confirmado de MPS I. O principal parâmetro de eficácia foi a capacidade vital forçada («FVC», uma medida de controlo do funcionamento dos pulmões) e a distância que os doentes conseguiam andar em seis minutos. Estes parâmetros foram avaliados antes do tratamento e 26 semanas após o mesmo. De seguida, o estudo continuou por mais quatro anos, tendo todos os doentes sido tratados com o Aldurazyme.

O Aldurazyme também foi estudado em 20 crianças de idades inferiores a cinco anos e que receberam o Aldurazyme durante um ano. O estudo foi concebido essencialmente para analisar a segurança do Aldurazyme, tendo também analisado o seu efeito na redução dos níveis de glicosaminoglicanos (GAG) na urina e do tamanho do fígado.

## **Qual o benefício demonstrado pelo Aldurazyme durante os estudos?**

O estudo demonstrou que o Aldurazyme melhorou tanto a capacidade vital forçada (FVC) como a capacidade de marcha às 26 semanas. Este efeito manteve-se até quatro anos.

Nas crianças com menos de cinco anos de idade, o Aldurazyme reduziu os níveis de glicosaminoglicanos (GAG) na urina em cerca de 60 %. Metade das crianças tratadas apresentava um fígado de dimensões normais no final do estudo.

## **Qual é o risco associado ao Aldurazyme?**

A maior parte dos efeitos secundários associados ao Aldurazyme consiste em reações associadas ao procedimento da perfusão e não ao medicamento propriamente dito. Alguns desses efeitos são graves, mas o seu número tende a diminuir com o tempo. Os efeitos secundários mais frequentes observados nos doentes com mais de cinco anos de idade (observados em mais de 1 doente em cada 10) são dores de cabeça, náusea (enjoo), dor abdominal (dor de barriga), erupção cutânea, artropatia (lesões nas articulações), artralgia (dores nas articulações), dores lombares (dores nas costas), dores nas extremidades (mãos e pés), rubor, pirexia (febre) e reações no local da perfusão. Nos doentes com menos de cinco anos de idade, os efeitos secundários mais frequentes (observados em mais de 1 doente em cada 10) são aumento da pressão arterial, descida da saturação de oxigénio (medida da função pulmonar), taquicardia (batimento cardíaco acelerado), pirexia e arrepios. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Aldurazyme, consulte o Folheto Informativo.

Quase todos os doentes que recebem o Aldurazyme desenvolvem anticorpos (proteínas produzidas em resposta ao Aldurazyme). O efeito que estes possam ter sobre a segurança e a eficácia do medicamento não é ainda totalmente conhecido.

O Aldurazyme é contra-indicado em pessoas com hipersensibilidade grave à laronidase ou a qualquer outro componente do medicamento.

### **Por que foi aprovado o Aldurazyme?**

O CHMP concluiu que o Aldurazyme é eficaz no controlo dos sintomas da MPS I e que os seus benefícios são superiores aos riscos, tendo recomendado a concessão de uma autorização de introdução no mercado para o medicamento.

O Aldurazyme foi inicialmente autorizado em «circunstâncias excecionais». Isto significa que, como se trata de uma doença rara, as informações disponíveis à data da aprovação eram limitadas. Dado a empresa ter fornecido as informações adicionais solicitadas, o estatuto de «circunstâncias excecionais» terminou em 16 de dezembro de 2015.

### **Outras informações sobre o Aldurazyme**

Em 10 de junho de 2003, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Aldurazyme.

O EPAR completo relativo ao Aldurazyme pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Aldurazyme, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 11-2015.