



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Rezumat EPAR destinat publicului

---

# Aldurazyme

## Iaronidază

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Aldurazyme. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Aldurazyme.

### Ce este Aldurazyme?

Aldurazyme este o soluție perfuzabilă (picurare în venă) care conține substanța activă Iaronidază.

### Pentru ce se utilizează Aldurazyme?

Aldurazyme se utilizează la pacienții cu diagnostic confirmat de mucopolizaharidoză de tip I (MPZ I; deficit de  $\alpha$ -L-iduronidază) pentru tratarea simptomelor non-neurologice ale bolii (simptome care nu au legătură cu creierul sau cu nervii). MPZ I este o boală ereditară rară, în care nivelul de activitate al enzimei  $\alpha$ -L-iduronidază este mult mai redus față de cel normal. Aceasta înseamnă că anumite substanțe, numite glicozaminoglicani (GAG) nu sunt descompuse în organism și, astfel, se acumulează în majoritatea organelor, afectându-le. Simptomele non-neurologice ale MPZ I pot fi ficat mărit, articulații rigide care îngreunează mișcările, reducerea volumului pulmonar, afecțiuni cardiace și afecțiuni oculare.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

### Cum se utilizează Aldurazyme?

Tratamentul cu Aldurazyme trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratarea pacienților care suferă de MPZ I sau de alte boli metabolice ereditare. Aldurazyme trebuie administrat într-un spital sau într-o clinică în care este disponibil un echipament de resuscitare, putând fi necesar ca, înainte de perfuzie, pacienților să li se administreze anumite medicamente pentru prevenirea unei



reacții alergice. Aldurazyme se administrează o dată pe săptămână sub formă de perfuzie intravenoasă. Este destinat utilizării de lungă durată.

## **Cum acționează Aldurazyme?**

Substanța activă din Aldurazyme, laronidaza, este o copie a enzimei umane  $\alpha$ -L-iduronidază. Este produsă printr-o metodă numită „tehnologia ADN-ului recombinant”: enzima este produsă de celule în care a fost introdusă o genă (ADN) care le permite să producă laronidază. Laronidaza se utilizează ca „terapie de substituție enzimatică”, ceea ce înseamnă că înlocuiește enzima care lipsește la pacienții cu MPZ I. Astfel, simptomele MPZ I sunt controlate, iar calitatea vieții pacientului este îmbunătățită.

## **Cum a fost studiat Aldurazyme?**

Aldurazyme a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv) pe 45 de pacienți cu vârsta de minimum șase ani cu diagnostic confirmat de MPZ I. Principalul indicator al eficacității a fost capacitatea vitală forțată (CVF, un indicator care arată cât de bine funcționează plămânii) și distanța pe care pacienții au putut să o parcurgă mergând timp de șase minute. Aceste măsurători au fost efectuate înainte și după 26 de săptămâni de tratament. Apoi, studiul a continuat timp de până la patru ani și toți pacienții au fost tratați cu Aldurazyme.

Aldurazyme a fost, de asemenea, studiat pe 20 de copii cu vârste sub cinci ani care au primit Aldurazyme timp de un an. Studiul a evaluat în principal siguranța medicamentului, dar a măsurat și capacitatea sa de a reduce nivelurile de GAG în urină și mărimea ficatului.

## **Ce beneficii a prezentat Aldurazyme pe parcursul studiilor?**

Studiul a demonstrat că după 26 de săptămâni, Aldurazyme a ameliorat atât CVF, cât și capacitatea de deplasare a pacienților. Acest efect s-a menținut timp de până la patru ani.

La copiii cu vârste sub cinci ani, Aldurazyme a redus nivelurile de GAG în urină cu aproximativ 60%. La jumătate din copiii tratați, mărimea ficatului era normală la sfârșitul studiului.

## **Care sunt riscurile asociate cu Aldurazyme?**

Cele mai multe efecte secundare observate asociate cu Aldurazyme sunt reacții cauzate mai mult de perfuzie decât de medicamentul ca atare. Unele dintre ele sunt severe, dar numărul efectelor secundare tinde să scadă cu timpul. Cele mai frecvente efecte secundare la pacienții cu vârste de peste cinci ani (observate la mai mult de 1 pacient din 10) sunt dureri de cap, greață, dureri abdominale (de burtă), erupții pe piele, artropatie (afectarea articulațiilor), artralgie (dureri articulare), dureri de spate, dureri la nivelul extremităților (mâini și picioare), înroșirea pielii, pirexie (febră) și reacții la locul perfuziei. La pacienții cu vârste sub cinci ani, cele mai frecvente efecte secundare (observate la mai mult de 1 pacient din 10) sunt creșterea tensiunii arteriale, scăderea saturației de oxigen (un indicator care arată cât de bine funcționează plămânii), tahicardie (accelerarea frecvenței bătăilor inimii), pirexie și frisoane. Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Aldurazyme, consultați prospectul.

Aproape toți pacienții care primesc Aldurazyme produc anticorpi (proteine produse ca răspuns la Aldurazyme). Efectul lor asupra siguranței și eficacității medicamentului nu este pe deplin cunoscut.

Aldurazyme este contraindicat la persoanele care au alergii severe la laronidază sau la oricare dintre celelalte ingrediente.

## De ce a fost aprobat Aldurazyme?

CHMP a hotărât că Aldurazyme oferă un control adecvat al simptomelor MPZ I. Comitetul a hotărât că beneficiile Aldurazyme sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

Aldurazyme a fost inițial autorizat în „condiții/circumstanțe? excepționale”, deoarece, din cauză că boala este rară, informațiile puse la dispoziție la momentul aprobării erau limitate. Deoarece compania a pus la dispoziție informațiile suplimentare solicitate, „circumstanțele excepționale” au încetat la 16 decembrie 2015.

## Alte informații despre Aldurazyme

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Aldurazyme, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 10 iunie 2003.

EPAR-ul complet pentru Aldurazyme este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Aldurazyme, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 11-2015.