



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Aldurazyme

laronidaza

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Aldurazyme. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil to zdravilo, na podlagi česar je oblikoval mnenje za izdajo dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

Kaj je zdravilo Aldurazyme?

Zdravilo Aldurazyme je raztopina za infundiranje (kapalno infuzijo v veno), ki vsebuje zdravilno učinkovino laronidaza.

Za kaj se zdravilo Aldurazyme uporablja?

Zdravilo Aldurazyme se uporablja pri bolnikih s potrjeno diagnozo mukopolisaharidoze tipa I (MPS I; tj. pomanjkanjem α -L-iduronidaze), in sicer za zdravljenje nenevroloških simptomov bolezni (ki niso povezani z možgani ali živčnim sistemom). Mukopolisaharidoza tipa I je redka dedna bolezen, pri kateri je stopnja delovanja encima α -L-iduronidaze mnogo nižja od normalne. To pomeni, da se nekatere snovi, imenovane glikozaminoglikani (GAG), ne razgradijo in se kopičijo v večini telesnih organov, v katerih povzročajo škodo. Nenevrološki znaki mukopolisaharidoze tipa I so lahko povečanje jeter, togost sklepov, ki otežuje gibanje, manjši volumen pljuč, srčne bolezni in očesna obolenja.

Izdaja zdravila je le na recept.

Kako se zdravilo Aldurazyme uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Aldurazyme mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z mukopolisaharidozo tipa I ali drugimi dednimi presnovnimi boleznimi. Zdravilo Aldurazyme je treba dati v ustreznem bolnišničnem ali kliničnem okolju, kjer je na voljo oprema za oživljanje, bolniki pa bodo pred infuzijo morda morali prejeti določena zdravila za preprečevanje alergijske reakcije. Zdravilo se daje enkrat na teden kot infuzija v veno. Namenjeno je dolgotrajni uporabi.



Kako zdravilo Aldurazyme deluje?

Zdravilna učinkovina zdravila Aldurazyme, laronidaza, je kopija človeškega encima α -L-iduronidaza. Proizvaja se z metodo, imenovano „tehnologija rekombinantne DNK“, pri kateri encim izdelajo celice, ki so prejele gen (DNK), kar jim omogoča tvorjenje laronidaze. Laronidaza se uporablja kot „terapija z nadomestnimi encimi“, kar pomeni, da nadomešča encim, ki manjka bolnikom z mukopolisaharidozo tipa I. S tem se nadzorujejo simptomi te bolezni in izboljša bolnikova kakovost življenja.

Kako je bilo zdravilo Aldurazyme raziskano?

Zdravilo Aldurazyme so primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine) pri 45 bolnikih, starejših od šest let, pri katerih je bila potrjena diagnoza MPS I. Glavno merilo učinkovitosti je bila forsirana vitalna kapaciteta (FVC, tj. merilo delovanja pljuč) in razdalja, ki so jo bolniki lahko prehodili v šestih minutah. Meritve so bile opravljene pred 26-tedenskim zdravljenjem in po njem. Po tem se je študija nadaljevala še štiri leta, vsi bolniki pa so bili zdravljeni z zdravilom Aldurazyme.

Zdravilo so proučevali tudi pri 20 otrocih, mlajših od pet let, ki so zdravilo Aldurazyme prejeli eno leto. S študijo so proučevali zlasti varnost zdravila, merili pa so tudi njegovo sposobnost zmanjšanja ravni GAG v urinu ter velikost jeter.

Kakšne koristi je zdravilo Aldurazyme izkazalo med študijami?

Študija je pokazala, da je zdravilo Aldurazyme izboljšalo forsirano vitalno kapaciteto (FVC) in zmožnost hoje bolnikov po 26 tednih. Ta učinek je trajal do štiri leta.

Pri otrocih, mlajših od pet let, je zdravilo Aldurazyme zmanjšalo ravni GAG v urinu za približno 60 %. Polovica zdravljenih otrok je imela ob koncu študije jetra normalne velikosti.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Aldurazyme?

Večina neželenih učinkov, opaženih pri uporabi zdravila Aldurazyme, so reakcije, ki se pojavijo zaradi postopka infuzije, in ne reakcije na samo zdravilo. Nekateri učinki so resni, vendar njihovo število sčasoma upade. Najpogostejši neželeni učinki pri bolnikih, starejših od pet let (opaženi pri več kot 1 bolniku od 10), so glavobol, navzeja (slabost), bolečine v trebuhu, izpuščaji, artropatija (poškodbe sklepov), artralgijska (bolečine v sklepih), bolečine v hrbtu, bolečine v okončinah (dlaneh in stopalih), zardevanje, pireksija (povišana telesna temperatura) ter reakcije na mestu infuzije. Pri bolnikih, mlajših od pet let, so najpogostejši neželeni učinki (opaženi pri več kot 1 bolniku od 10) zvišan krvni tlak, zmanjšana nasičenost s kisikom (merilo uspešnosti delovanja pljuč), tahikardija (hitro bitje srca), pireksija in mrzlica. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Aldurazyme, glejte navodilo za uporabo.

Skoraj pri vseh bolnikih, ki prejema zdravilo Aldurazyme, nastanejo protitelesa (beljakovine, ki nastanejo v odziv na zdravljenje s tem zdravilom). Učinek teh na varnost in učinkovitost zdravila še ni v celoti znan.

Zdravila Aldurazyme ne smejo uporabljati osebe, ki so hudo alergične na laronidazo ali katero koli drugo sestavino zdravila.

Zakaj je bilo zdravilo Aldurazyme odobreno?

CHMP je zaključil, da zdravilo Aldurazyme zagotavlja učinkovit nadzor simptomov mukopolisaharidoze tipa I. Zaključil je, da so koristi zdravila Aldurazyme večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj izda dovoljenje za promet.

Zdravilo Aldurazyme je pridobilo dovoljenje za promet v „izjemnih okoliščinah“, saj so bile zaradi redkosti bolezni ob odobritvi zdravila na voljo le omejene informacije. Ker je družba predložila zahtevane dodatne informacije, so „izjemne okoliščine“ prenehale veljati 16. decembra 2015.

Druge informacije o zdravilu Aldurazyme

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Aldurazyme, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 10. junija 2003.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Aldurazyme je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Aldurazyme preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 11-2015.