



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Aldurazyme

laronidas

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Aldurazyme. Det förklarar hur kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är Aldurazyme?

Aldurazyme är en infusionsvätska, lösning (ges som dropp i en ven) som innehåller den aktiva substansen laronidas.

Vad används Aldurazyme för?

Aldurazyme ges till patienter med en bekräftad diagnos på mukopolysackaridos I (MPS I; alfa-L-iduronidasbrist) för att behandla de symtom på sjukdomen som är icke-neurologiska (som inte har samband med hjärnan eller nerverna). MPS I är en sällsynt ärftlig sjukdom där aktiviteten hos enzymet alfa-L-iduronidas är mycket lägre än normalt. Detta betyder att ämnen som kallas glykosaminoglykaner (GAG) inte bryts ned av enzymet utan ansamlas i de flesta av kroppens organ och skadar dem. De icke-neurologiska symtomen av MPS I kan vara förstörad lever, stelhet i leder som gör det svårt att röra sig, minskad lungvolym, hjärtsjukdom och ögonsjukdom.

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används Aldurazyme?

Behandling med Aldurazyme bör ske under ledning av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med MPS I eller andra ärftliga metaboliska sjukdomar. Aldurazyme ska ges på ett sjukhus eller en klinik där det finns återupplivningsutrustning. Patienterna kan behöva ges vissa läkemedel före infusionen för att förhindra en allergisk reaktion. Aldurazyme ges en gång i veckan som en infusion i en ven. Det är avsett för långtidsbehandling.



Hur verkar Aldurazyme?

Den aktiva substansen i Aldurazyme, laronidas, är en kopia av det mänskliga enzymet alfa-L-iduronidas. Laronidas framställs med en metod som kallas rekombinant DNA-teknik, vilket innebär att det framställs av celler som fått en gen (DNA) som gör att de kan producera laronidas. Laronidas används som enzymsättningsterapi, vilket innebär att det ersätter det enzym som saknas hos patienter med MPS I. På så sätt kontrolleras symtomen på MPS I och detta förbättrar patientens livskvalitet.

Hur har Aldurazymes effekt undersökts?

Aldurazyme har jämförts med placebo (overksam behandling) hos 45 patienter från sex års ålder och uppåt med en bekräftad diagnos på MPS I. Huvudeffektområdet var lungfunktion (forcerad vitalkapacitet, FVC) och det avstånd som patienterna kunde gå på sex minuter. Detta mättes före och efter behandlingen som varade i 26 veckor. Därefter fortsatte studien i upp till fyra år och samtliga patienter behandlades med Aldurazyme.

Aldurazyme har också undersökts på 20 barn yngre än fem år som fick Aldurazyme under ett år. I studien undersöktes huvudsakligen läkemedlets säkerhet men även dess förmåga att minska GAG-nivåerna i urinet. Leverns storlek mättes också.

Vilken nytta har Aldurazyme visat vid studierna?

Studien visade att Aldurazyme förbättrat både FVC och gångförmågan hos patienterna efter 26 veckors behandling. Denna effekt höll i sig i upp till fyra år.

Hos barn yngre än fem år minskade Aldurazyme GAG-nivåerna i urinen med omkring 60 procent och hälften av de behandlade barnen hade en normalstor lever när studien var slut.

Vilka är riskerna med Aldurazyme?

De flesta biverkningarna som orsakas av Aldurazyme är reaktioner som beror på infusionen snarare än på läkemedlet i sig. Vissa av dessa är allvarliga men antalet biverkningar tenderar att minska med tiden. De vanligaste biverkningarna hos patienter äldre än fem år (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är huvudvärk, illamående, buksmärta (magont), utslag, artropati (skador på lederna), artralgi (ledsmärta), ryggsmärta, smärta i händer och fötter, rodnad, feber och reaktioner på infusionsstället. Hos patienter yngre än fem år är de vanligaste biverkningarna (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) förhöjt blodtryck, minskad syrgasmättnad (ett mått på lungfunktion), takykardi (snabb hjärtrytm), feber och frossa. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Aldurazyme finns i bipacksedeln.

Nästan alla patienter som får Aldurazyme utvecklar antikroppar (proteiner som produceras som svar på Aldurazyme). Man vet inte exakt hur dessa påverkar läkemedlets säkerhet och effekt.

Aldurazyme får inte ges till personer som är starkt allergiska (överkänsliga) mot laronidas eller något annat innehållsämne.

Varför har Aldurazyme godkänts?

CHMP fann att Aldurazyme ger effektiv kontroll över symtomen på MPS I. Kommittén fann att nyttan med Aldurazyme är större än riskerna och rekommenderade att Aldurazyme skulle godkännas för försäljning.

Aldurazyme godkändes ursprungligen i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall" eftersom sjukdomen är sällsynt och det därför endast fanns begränsad information vid tidpunkten för godkännandet. Eftersom företaget har lämnat den kompletterande information som begärdes upphörde villkoret "i undantagsfall" att gälla den 16 december 2015.

Mer information om Aldurazyme

Den 10 juni 2003 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Aldurazyme som gäller i hela EU.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Aldurazyme finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 11-2015.