



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/477396/2013
EMA/H/C/000477

Резюме на EPAR за обществено ползване

Aldurazyme

laronidase

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Aldurazyme. В него се разяснява как Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) е оценил лекарството, за да даде положително становище за разрешаване за употреба и препоръки за условията на употреба на Aldurazyme.

Какво представлява Aldurazyme?

Aldurazyme представлява инфузионен разтвор (вливане във вена), съдържащ активното вещество ларонидаза (*laronidase*).

За какво се използва Aldurazyme?

Aldurazyme се използва при пациенти с потвърдена диагноза за мукополизахаридоза I (MPS I, недостатъчност на α -L-идуронидаза) за лечение на не-неврологични симптоми на заболяването (симптоми, които не са свързани с мозъка или нервите). MPS I е рядко наследствено заболяване, при което нивото на активност на ензима α -L-идуронидаза е много по-ниско от нормалното. Това означава, че веществата, наречени гликозаминогликани, не се разграждат, а се натрупват в повечето органи на тялото и ги увреждат. Не-неврологичните симптоми на MPS I могат да бъдат увеличен черен дроб, скованост на ставите, която затруднява движенията, по-малък обем на белите дробове, заболяване на сърцето и очите.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

Как се използва Aldurazyme?

Лечението с Aldurazyme трябва да се наблюдава от лекар с опит в лечението на пациенти с MPS I или други наследствени метаболитни заболявания. Aldurazyme трябва да се прилага в болница или клиника, където има оборудване за реанимация и е възможно при нужда пациентите да получат лекарствени продукти преди инфузията, за да се предотвратят алергични реакции.



Aldurazyme се прилага веднъж седмично като инфузия. Предназначен е за продължителна употреба.

Как действа Aldurazyme?

Активното вещество в Aldurazyme, ларонидаза, е копие на човешкия ензим α -L-идуронидаза. Произвежда се по метод, известен като „рекомбинантна ДНК технология“: от клетки, получили ген (ДНК), който им позволява да произвеждат ларонидаза. Ларонидазата се използва като „ензимозаместваща терапия“, което означава, че замества липсващия ензим при пациенти с MPS I. Това контролира симптомите на MPS I, с което се подобрява качеството на живот на пациента.

Как е проучен Aldurazyme?

Aldurazyme е сравнен с плацебо (сляпо лечение) при 45 пациенти на възраст шест и повече години с потвърдена диагноза за MPS I. Основната мярка за ефективност е форсираният витален капацитет (FVC, мярка за качеството на белодробната дейност) и разстоянието, което пациентите могат да изминат за шест минути. Измерването е направено преди и след 26 седмици на лечение. След това проучването продължава до четири години и всички пациенти са лекувани с Aldurazyme.

Aldurazyme е проучен също при 20 деца на възраст под пет години, които приемат Aldurazyme в продължение на една година. Проучването разглежда основно безопасността на лекарството, но измерва също способността му да намалява нивата на гликозаминогликаните в урината и размера на черния дроб.

Какви ползи от Aldurazyme са установени в проучванията?

Проучването показва, че Aldurazyme подобрява както форсирания витален капацитет, така и способността на пациентите да ходят след 26 седмици. Този ефект се запазва за период до четири години.

При деца на възраст под пет години Aldurazyme намалява нивата на гликозаминогликаните в урината с около 60%. При половината от лекуваните деца черният дроб е с нормален размер в края на проучването.

Какви са рисковете, свързани с Aldurazyme?

Повечето нежелани лекарствени реакции при Aldurazyme са реакции, предизвикани по-скоро от инфузията, отколкото от лекарството. Някои от тях са силни, но броят на нежеланите лекарствени реакции има тенденцията да намалява с времето. Най-честите нежелани лекарствени реакции при пациенти на възраст над пет години (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) са главоболие, гадене (позиви за повръщане), абдоминални (коремни) болки, обриви, артропатия (увреждане на ставите), артралгия (болки в ставите), болки в гърба, болки в крайниците (ръце и крака), изчервяване, пирексия (повишена температура) и реакции на мястото на инфузията. При пациенти на възраст под пет години най-честите нежелани лекарствени реакции (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) са повишено кръвно налягане, намалено кислородно насищане (мярка за качеството на белодробната дейност), тахикардия (ускорен сърдечен пулс), пирексия и втрисане. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Aldurazyme, вижте листовката.

Почти всички пациенти, които приемат Aldurazyme, развиват антитела (протеини, които се произвеждат в отговор на Aldurazyme). Ефектът им върху безопасността и ефективността на лекарството не е напълно изяснен.

Aldurazyme не трябва да се прилага при хора, които проявяват остри алергични реакции към ларонидаза или към някоя от останалите съставки.

Защо Aldurazyme е разрешен за употреба?

CHMP реши, че Aldurazyme осигурява ефективен контрол на симптомите на MPS I. Комитетът реши, че ползите от Aldurazyme са по-големи от рисковете, и препоръча да се издаде разрешение за употреба.

Първоначално Aldurazyme е обозначен като „лекарство сирак“ и разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Това означава, че поради рядкото разпространение на болестта не е било възможно да се получи пълна информация за Aldurazyme. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и това резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация все още се очаква за Aldurazyme?

Фирмата производител на Aldurazyme ще проследява пациентите, приемащи Aldurazyme, и ще разглежда реакциите на инфузията и развиването на антитела.

Допълнителна информация за Aldurazyme:

На 10 юни 2003 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Aldurazyme, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Aldurazyme може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. За повече информация относно лечението с Aldurazyme прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Дата на последно актуализиране на текста 08-2013.