

EMA/763262/2010
EMA/H/C/000640

Резюме на EPAR за обществено ползване

Naglazyme

galsulfase

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Naglazyme. В него се разяснява оценката на Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) относно лекарството, на която Комитетът основава становище за издаване на разрешение за употреба и препоръки относно условията на употреба за Naglazyme.

Какво представлява Naglazyme?

Naglazyme представлява инфузионен разтвор (вливане във вена), съдържащ активното вещество галсулфаза (galsulfase) (1 mg/ml).

За какво се използва Naglazyme?

Naglazyme се използва за лечение на пациенти с мукополизахаридоза VI (МПЗ VI или синдром на Марото-Лами). Това заболяване се причинява от липсата на ензим, наречен N-ацетилгалактозамин 4-сулфатаза, необходим за разграждането на вещества в организма, наречени глюкозаминогликани (GAG). Когато ензимът липсва, GAG не могат да бъдат разградени и се натрупват в клетките. В резултат на това се появяват симптомите на заболяването, като най-забележимите са нисък ръст, голяма глава и затруднено движение. Обикновено заболяването се диагностицира при деца на възраст между една и пет години.

Тъй като броят на пациентите с МПЗ VI е малък, заболяването се смята за рядко и на 14 февруари 2001 г. Naglazyme е определен за „лекарство сирак“.

Лекарствен продукт, отпускан по лекарско предписание.

Как да използвате Naglazyme?

Лечението с Naglazyme трябва да се наблюдава от лекар с опит в лечението на пациенти с МПЗ VI или подобни заболявания. Прилагането на Naglazyme трябва да се извършва в условия с налично оборудване за реанимация за оказване на спешна помощ.

Naglazyme се прилага като инфузия в продължение на четири часа веднъж седмично. Препоръчителната доза е 1 mg на килограм телесно тегло. Преди всяка инфузия на пациентите трябва да се дава антихистамин за намаляване на риска от алергични реакции. На пациентите може също да се дава лекарство, за да се предотврати повишаване на температурата.

Как действа Naglazyme?

Naglazyme е ензим-заместваща терапия. Ензим-заместващата терапия снабдява пациентите с ензима, който им липсва. Активното вещество в Naglazyme, галсулфаза, е копие на човешкия ензим N-ацетилгалактозамин 4-сулфатаза. Naglazyme спомага за разграждането на GAG и спира натрупването им в клетките. Това може да подобри симптомите на МПЗ VI, включително способностите за движение на пациентите.

Галсулфазата се произвежда по метод, познат като „рекомбинантна ДНК технология“: от клетка, получила ген (ДНК), който я прави способна да произведе ензима.

Как е проучен Naglazyme?

Naglazyme е сравнен с плацебо (сляпо лечение) в едно основно проучване, обхващащо 39 пациенти с МПЗ VI на възраст между пет и 29 години. Основната мярка за ефективност е разстоянието, което пациентите могат да извървят след 24 седмици лечение.

Какви ползи от Naglazyme са установени в проучванията?

Naglazyme е по-ефективен от плацебо. След 24 седмици средното разстояние, извървяно за 12 минути, е увеличено със 109 метра при пациентите, лекувани с Naglazyme, и с 18 метра при пациентите, лекувани с плацебо.

Какви са рисковете, свързани с Naglazyme?

В проучванията най-честите нежелани реакции при Naglazyme (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) са болки в ушите, диспнея (затруднено дишане), абдоминални болки и общи болки. Пациентите са проявили и реакции към инфузията (например повишена температура, тръпки, обрив и уртикариален обрив). За пълния списък на всички наблюдавани при Naglazyme нежелани реакции – вижте листовката.

Naglazyme е противопоказан за хора, които биха могли да проявят свръхчувствителност (алергични реакции) към галсулфаза или някоя от другите съставки.

Какви са основанията за одобряване на Naglazyme?

CHMP решава, че ползите от Naglazyme са по-големи от рисковете, и препоръчва да му бъде издадено разрешение за употреба.

Комитетът отбелязва, че въпреки че в основното проучване с Naglazyme не са включени пациенти на възраст под пет години, важно е те да се лекуват, ако имат тежка форма на МПЗ VI.

Naglazyme е разрешен при „извънредни обстоятелства“. Това означава, че тъй като заболяването е рядко, не е било възможно да бъде получена пълна информация за Naglazyme. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще разглежда всяка новопостъпила информация и настоящото резюме ще бъде съответно актуализирано.

Каква информация все още се очаква да бъде получена за Naglazyme?

Компанията производител на Naglazyme провежда проучвания, разглеждащи продължителната безопасност и ефективност на Naglazyme при бременни и кърмачки и при деца на възраст под пет години, за да се установи дали ще развият антитела (протеини, които се образуват в организма в отговор на Naglazyme, които могат да повлияят на отговора към лечението), и за да разгледа нежеланите реакции към лекарството. Компанията също провежда проучвания за определяне на оптималната доза въз основа на редовно дългосрочно приложение.

Допълнителна информация за Naglazyme

Европейската комисия издава разрешение за употреба, валидно в рамките на Европейския съюз за Naglazyme на BioMarin Europe Limited на 24 януари 2006 г. Разрешението за употреба е безсрочно.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци относно Naglazyme може да се намери на уебсайта на Агенцията на адрес ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Пълният текст на EPAR за Naglazyme може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). За повече информация относно лечението с Naglazyme – прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Дата на последно актуализиране на текста 12-2010.