



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/645185/2022  
EMA/H/C/005352

## Upstaza (eladocagene exuparvovec)

Общ преглед на Upstaza и основания за разрешаване в ЕС

### Какво представлява Upstaza и за какво се използва?

Upstaza е лекарство за генна терапия, което се използва при възрастни и деца на възраст 18 и повече месеца с тежък дефицит на ароматна L-аминокиселинна декарбоксилаза (AADC) с генетично потвърдена диагноза.

Дефицитът на AADC е наследствено заболяване, което засяга нервната система и води до симптоми като забавяне на развитието, слаб мускулен тонус и неспособност да се контролира движението на крайниците.

Дефицитът на AADC се счита за рядко заболяване и Upstaza е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 18 ноември 2016 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161786](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161786).

Upstaza е лекарствен продукт за модерна терапия, наречен „продукт за генна терапия“. Този вид лекарство действа чрез въвеждане на гени в организма.

Upstaza съдържа еладакаген ексуларвовек, функционална версия на гена за AADC в рамките на модифициран вирус (адено-асоцииран вирусен вектор). Не е известно вирусът, използван в това лекарство, да причинява заболяване при хората.

### Как се използва Upstaza?

Upstaza се отпуска по лекарско предписание и трябва да се прилага в операционна зала под въздействието на анестетик от лекар с опит в провеждането на мозъчни операции. Прилага се чрез инфузия в мозъка. След инфузията на пациента се прави сканиране на мозъка. Лекарят ще наблюдава възстановяването и ще проверява за нежелани реакции в резултат на операцията и лечението.

За повече информация относно употребата на Upstaza вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.



## Как действа Upstaza?

Дефицитът на AADC се причинява от мутации в гена, който произвежда ензима AADC. Този ензим е необходим за производството на допамин, невротрансмитер, който е важен за контролиране на движението. При пациентите с дефицит на AADC ензимът няма правилно работещ вариант, което води до много малко или никакво производство на допамин в мозъка. Лекарството се състои от вирус, който съдържа работещ вариант на гена AADC. Когато се приложи на пациента, се очаква вирусът да достави гена за AADC в нервните клетки, което им позволява да произвеждат липсващия ензим. Това от своя страна се очаква да позволи на клетките да произвеждат допамин, от който се нуждаят, за да функционират правилно, като по този начин се подобряват симптомите на заболяването.

## Какви ползи от Upstaza са установени в проучванията?

Ползите от Upstaza са установени в три основни проучвания, обхващащи 28 деца на възраст от 1,5 до 8,5 години с тежък дефицит на AADC, потвърден от генетичен тест. Основните мерки за ефективност са контролът на главата и способността да се седи без чужда помощ. Проучванията показват, че около 70 % (14 от 20) от пациентите са в състояние да контролират движението на главата, а около 65 % (12 от 20) от пациентите могат да седят без чужда помощ две години след лечението. Данните от научната литература показват, че пациентите с тежък дефицит на AADC, които не са получили лечение, не могат да постигнат тези основни етапи на развитие.

## Какви са рисковете, свързани с Upstaza?

Най-честата нежелана реакция при Upstaza (която може да засегне повече от 1 на 10 души) е дискинезия (неконтролируеми движения).

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Upstaza вижте листовката.

## Защо Upstaza е разрешен за употреба в ЕС?

В три основни проучвания е показано, че Upstaza е ефективен за подобряване на способността за контрол на движението на главата и за седене при пациенти с дефицит на AADC. Тъй като дефицитът на AADC е много рядко заболяване, проучването е малко, но наличните краткосрочни данни показват, че Upstaza може да бъде ефективен за постигане на важни етапи в развитието при деца. Въпреки че данните за безопасността на Upstaza са ограничени, нежеланите реакции, наблюдавани към днешна дата, се считат за подлежащи на овладяване. Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Upstaza са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС също и при възрастни с дефицит на AADC, като се има предвид сериозността на заболяването и липсата на съществуващи лечения.

Upstaza е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Това означава, че тъй като показанието се среща толкова рядко, не е било възможно да се получи пълна информация за лекарството. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

## Каква информация се очаква за Upstaza?

Тъй като Upstaza е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“, фирмата, която предлага Upstaza, ще предостави допълнителни данни от текущи проучвания и ще проведе ново проучване за допълнително характеризиране на дългосрочната безопасност и ефективност на Upstaza.

## **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Upstaza?**

Фирмата, която предлага Upstaza, трябва да гарантира, че болниците, в които се прилага Upstaza, разполагат с подходящо оборудване, а персоналът има подходящ опит и обучение.

Фирмата трябва да осигури обучителни материали за медицинските специалисти и пациентите относно хирургическата процедура и възможните нежелани реакции.

Фирмата трябва също така да предостави допълнителни данни, за да докаже, че Upstaza се произвежда неизменно със същите стандарти за качество.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Upstaza, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Upstaza непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Upstaza, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

## **Допълнителна информация за Upstaza:**

Допълнителна информация за Upstaza можете да намерите на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/upstaza](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/upstaza).