

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Aldurazyme

laronidasum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Aldurazyme. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek používání přípravku Aldurazyme.

Co je Aldurazyme?

Aldurazyme je infuzní roztok (kapání do žíly), který obsahuje léčivou látku laronidázu.

K čemu se přípravek Aldurazyme používá?

Přípravek Aldurazyme se používá u pacientů s potvrzenou diagnózou mukopolysacharidózy I (MPS I, nedostatku α -L-iduronidázy) k léčbě non-neurologických příznaků onemocnění (tj. příznaků, které se netýkají mozku ani nervů). MPS I je vzácné dědičné onemocnění, při němž je úroveň aktivity enzymu α -L-iduronidázy mnohem nižší než obvykle. To znamená, že látky nazývané glykosaminoglykany (GAG) nejsou štěpeny, takže se ve většině orgánů hromadí a poškozuje je. Non-neurologickými projevy MPS I mohou být zvětšená játra, ztuhlost kloubů ztěžující pohyb, omezená kapacita plic, srdeční onemocnění nebo poškození očí.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Jak se přípravek Aldurazyme používá?

Léčba přípravkem Aldurazyme by měla probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou pacientů s MPS I nebo jinými dědičnými metabolickými onemocněními. Přípravek Aldurazyme by měl být podáván v nemocnici nebo na klinice s pohotově dostupným resuscitačním vybavením, přičemž před infuzí je třeba u pacientů zvážit podání dalších léků, aby se předešlo výskytu alergických reakcí. Přípravek Aldurazyme se podává jednou týdně formou infuze do žíly. Je určen k dlouhodobému užívání.



Jak přípravek Aldurazyme působí?

Léčivá látka v přípravku Aldurazyme, laronidáza, je kopie lidského enzymu α -L-iduronidáza. Vyrábí se metodou označovanou jako „technologie rekombinantní DNA“: enzym je vytvářen buňkami, do kterých byl vložen gen (DNA), díky němuž jsou schopny produkovat laronidázu. Laronidáza se používá jako „enzymatická substituční léčba“, což znamená, že u pacientů s MPS I nahrazuje chybějící enzym. Tím dochází ke kontrole příznaků MPS I a zlepšení kvality života pacienta.

Jak byl přípravek Aldurazyme zkoumán?

Přípravek Aldurazyme byl porovnáván s placebem (neúčinným přípravkem) u 45 pacientů ve věku od 6 let s potvrzenou diagnózou MPS I. Hlavním měřítkem účinnosti byla usilovná vitální kapacita plic (což je ukazatel toho, jak dobře plíce pracují) a vzdálenost, kterou pacienti dokázali ujít za 6 minut. Tyto hodnoty byly měřeny před zahájením léčby a po 26 týdnech trvání léčby. Poté studie pokračovala po dobu až 4 let, přičemž všichni pacienti byli léčeni přípravkem Aldurazyme.

Přípravek Aldurazyme byl rovněž zkoumán u 20 dětí ve věku do 5 let, které ho dostávaly po dobu jednoho roku. Studie se zaměřila zejména na bezpečnost tohoto léčivého přípravku, ale měřila také jeho schopnost snižovat hladiny glykosaminoglykanů v moči a velikost jater.

Jaký přínos přípravku Aldurazyme byl prokázán v průběhu studií?

Studie prokázala, že po 26 týdnech přípravek Aldurazyme u pacientů zlepšil jak usilovnou vitální kapacitu plic, tak schopnost chůze. Tento účinek přetrvával po dobu až 4 let.

U dětí ve věku do 5 let snížil přípravek Aldurazyme hladiny glykosaminoglykanů v moči přibližně o 60 %. Polovina z léčených dětí měla na konci studie obvyklou velikost jater.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Aldurazyme?

Většina pozorovaných nežádoucích účinků přípravku Aldurazyme je vyvolána spíše průběhem infuze než samotným léčivým přípravkem. Některé z nich jsou závažné, ale postupem času se jejich počet snižuje. Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Aldurazyme u pacientů ve věku nad 5 let (zaznamenanými u více než 1 pacienta z 10) jsou bolest hlavy, nauzea (pocit nevolnosti), bolesti břicha, vyrážka, artropatie (poškození kloubů), artralgie (bolest kloubů), bolest zad, bolesti končetin (rukou a nohou), návaly, pyrexie (horečka) a reakce v místě infuze. Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Aldurazyme u pacientů ve věku do 5 let (zaznamenanými u více než 1 pacienta z 10) jsou zvýšený krevní tlak, snížená saturace kyslíkem (měřítko toho, jak dobře plíce pracují), tachykardie (vysoká tepová frekvence), pyrexie (horečka) a třes. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Aldurazyme je uveden v příbalové informaci.

Téměř u všech pacientů, kterým byl podáván přípravek Aldurazyme, se vytvářely protilátky (bílkoviny, k jejichž produkci dochází v reakci na přípravek Aldurazyme). Jejich vliv na bezpečnost a účinnost tohoto léčivého přípravku není zcela znám.

Přípravek Aldurazyme nesmějí užívat osoby se závažnou alergií na laronidázu nebo na kteroukoli další složku tohoto přípravku.

Na základě čeho byl přípravek Aldurazyme schválen?

Výbor CHMP rozhodl, že přípravek Aldurazyme poskytuje účinnou kontrolu projevů MPS I. Výbor CHMP rozhodl, že přínosy přípravku Aldurazyme převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Přípravek Aldurazyme byl původně registrován „za výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze onemocnění bylo v době jeho schvalování k dispozici pouze omezené množství informací. Vzhledem k tomu, že společnost požadované doplňující informace předložila, označení „za výjimečných okolností“ bylo dne 16. prosince 2015 odvoláno.

Další informace o přípravku Aldurazyme

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Aldurazyme platné v celé Evropské unii dne 10. června 2003.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Aldurazyme je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Aldurazyme naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 11-2015.