



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/529536/2016
EMEA/H/C/000700

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Elaprase

idursulfasum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek Elaprase. 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 Elaprase.

Co je Elaprase?

Elaprase je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku idursulfázu. Je k dispozici ve formě koncentrátu pro přípravu infuzního roztoku (kapání do žíly).

K čemu se přípravek Elaprase používá?

Přípravek Elaprase se používá k léčbě pacientů s Hunterovým syndromem. Je určen k dlouhodobému užívání.

Hunterův syndrom, který je rovněž znám pod názvem mukopolysacharidóza II, je vzácné dědičné onemocnění, které primárně postihuje pacienty mužského pohlaví. U pacientů s Hunterovým syndromem se nevytváří enzym zvaný iduronát-2-sulfatáza. Tento enzym je potřebný ke štěpení látek v těle nazývaných glykosaminoglykany. Jelikož u pacientů s Hunterovým syndromem neprobíhá štěpení těchto látek, dochází k jejich hromadění ve většině orgánů v těle a poškození těchto orgánů. Důsledkem je široká škála příznaků, zejména obtíže s dýcháním a chůzí. Bez léčby se tyto příznaky postupem času stávají závažnějšími.

Jelikož počet pacientů s Hunterovým syndromem je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Elaprase byl dne 11. prosince 2001 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Jak se přípravek Elapraxe používá?

Léčba přípravkem Elapraxe by měla probíhat pod dohledem lékaře nebo jiného zdravotnického pracovníka, který má zkušenosti s léčbou pacientů s Hunterovým syndromem nebo jinými dědičnými metabolickými onemocněními.

Přípravek Elapraxe se podává každý týden prostřednictvím infuze do žíly, a to v dávce 0,5 mg na kilogram tělesné hmotnosti. Infuze by měla být podávána po dobu 3 hodin. Pokud se však u pacienta neobjeví reakce na infuzi (vyrážka, svědění, horečka, bolest hlavy, vysoký krevní tlak nebo návaly horka), může být doba podávání infuze zkrácena na jednu hodinu.

Pacientům, kteří infuze dobře snášejí po dobu několika měsíců v prostředí kliniky, mohou být následně infuze podávány v domácím prostředí. Podávání infuzí v domácím prostředí by mělo probíhat pod dohledem lékaře nebo zdravotní sestry.

Jak přípravek Elapraxe působí?

Léčivá látka v přípravku Elapraxe, idursulfáza, je kopie lidského enzymu iduronát-2-sulfatáza. Nahrazuje uvedený enzym, který u pacientů s Hunterovým syndromem chybí nebo je poškozený. Přísun tohoto enzymu pacientům usnadní štěpení glykosaminoglykanů a zastaví jejich hromadění v tkáních, čehož důsledkem je zlepšení příznaků onemocnění.

Jak byl přípravek Elapraxe zkoumán?

Do hlavní studie přípravku Elapraxe bylo zařazeno 96 mužských pacientů ve věku od 5 do 31 let, přičemž přípravek byl porovnáván s placebem (léčbou neúčinným přípravkem). Hlavními měřítky účinnosti byla funkce plic (tzv. vitální kapacita plic, což je maximální množství vzduchu, které pacient dokáže vydechnout), a vzdálenost, kterou pacienti byli schopni ujít za dobu 6 minut, což je způsob měření kombinovaných dopadů onemocnění na srdce, plíce, klouby a další orgány. Tato měření byla provedena na začátku studie a po jednom roce léčby.

Jaký přínos přípravku Elapraxe byl prokázán v průběhu studií?

Přípravek Elapraxe vedl u pacientů ke zlepšení funkce plic i schopnosti chůze. V okamžiku zahájení studie byli pacienti v průměru schopni za 6 minut ujít přibližně 395 metrů. Po jednom roce léčby byly pacienti užívající přípravek Elapraxe schopni ujít v průměru o 43 metrů více a pacienti užívající placebo o 8 metrů více. Léčivý přípravek rovněž vedl ke zlepšení funkce plic, zatímco u pacientů užívajících placebo bylo v tomto ohledu zaznamenáno nepatrné zhoršení.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Elapraxe?

Nejčastější nežádoucí účinky přípravku Elapraxe souvisí s podáváním infuze a zahrnují kožní reakce (vyrážka nebo svědění), horečku, bolest hlavy, vysoký krevní tlak a návaly horka. Dalšími nežádoucími účinky zaznamenanými u více než 1 pacienta z 10 jsou sípání, dušnost (potíže s dýcháním), bolest břicha (bolest žaludku), nauzea (pocit nevolnosti), dyspepsie (pálení žáhy), průjem, otok v místě infuze a bolest na hrudi. U některých pacientů užívajících přípravek Elapraxe se vyskytly závažné alergické reakce. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Elapraxe je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Elapraxe nesmějí užívat osoby, které v minulosti prodělaly závažnou nebo život ohrožující alergickou (anafylaktickou) reakci na idursulfázu nebo na kteroukoli další složku tohoto přípravku, pokud není možné tuto alergii kontrolovat příslušnou léčbou. Pokud je přípravek podáván pacientům, u

kterých se v minulosti objevila závažná alergická reakce, je třeba přípravek Elapraxe používat s opatrností a během infuze by měl být k dispozici vyškolený personál a zařízení potřebné k naléhavé resuscitaci.

Na základě čeho byl přípravek Elapraxe schválen?

Výbor CHMP dospěl k závěru, že zlepšení prokázána v rámci studie, ač omezená, představují klinický přínos v léčbě Hunterova syndromu. Výbor rozhodl, že přínosy přípravku Elapraxe převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Přípravek Elapraxe byl registrován za „výjimečných okolností“. Znamená to, že vzhledem ke vzácné povaze Hunterova syndromu nebylo možné o přípravku Elapraxe získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento souhrn bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Elapraxe nebyly dosud předloženy?

Společnost, která přípravek Elapraxe uvádí na trh, bude zkoumat dlouhodobé účinky přípravku, a to zejména na plíce, srdce a krevní cévy, a dále to, zda tělo produkuje protilátky, které by mohly ovlivnit bezpečnost a účinnost přípravku.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Elapraxe?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Elapraxe, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Elapraxe

Evropská komise udělila přípravku Elapraxe registraci platnou v celé Evropské unii dne 8. ledna 2007.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Elapraxe je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Další informace o léčbě přípravkem Elapraxe naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Elapraxe vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 09-2016.