



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/246404/2010
EMA/H/C/001032

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Firdapse¹ amifampridinum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Firdapse. 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 Firdapse.

Co je Firdapse?

Firdapse je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku amifampridin. K dispozici je ve formě tablet (10 mg).

K čemu se přípravek Firdapse používá?

Přípravek Firdapse se používá k léčbě příznaků Lambert-Eatonova myastenického syndromu (LEMS) u dospělých. LEMS je onemocnění, při kterém se u pacientů objevuje svalová slabost v důsledku poruchy přenosu nervových elektrických impulsů do svalů.

Jelikož počet pacientů s LEMS je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Firdapse byl dne 18. prosince 2002 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Jak se přípravek Firdapse používá?

Léčba přípravkem Firdapse by měla být zahájena pouze pod dohledem lékaře se zkušenostmi s léčbou LEMS.

Doporučená počáteční dávka přípravku Firdapse je 15 mg denně, přičemž tuto dávku lze každých 4 až 5 dní zvyšovat o 5 mg až do maximální dávky 60 mg/den. Přípravek Firdapse se užívá v oddělených

¹ Léčivý přípravek dříve známý pod názvem Zenas.



dávkách, třikrát nebo čtyřikrát denně, přičemž každá jednotlivá dávka by neměla přesáhnout 20 mg. Přípravek Firdapse by se měl užívat s jídlem.

Jak přípravek Firdapse působí?

K dosažení kontrakce svalů je nezbytné, aby nervy přenášely elektrické impulsy do svalů prostřednictvím chemického posla zvaného acetylcholin. Acetylcholin se z nervových zakončení uvolňuje během tzv. depolarizace.

Léčivá látka v přípravku Firdapse, amifampridin, je blokátor draslíkového kanálu, který zabraňuje výstupu nabitých částic draslíku z nervových buněk. To prodlužuje fázi depolarizace, což umožňuje delší uvolňování acetylcholinu z nervů a následně stimulaci kontrakce svalů.

Jak byl přípravek Firdapse zkoumán?

Jelikož léčivé přípravky obsahující amifampridin se v Evropské unii používají již déle než 20 let, společnost na podporu používání přípravku Firdapse předložila výsledky studií z vědecké literatury týkajících se amifampridinu. Ve dvou publikovaných studiích, do kterých bylo zařazeno celkem 38 dospělých s LEMS, byl amifampridin srovnáván s placebem (léčbou neúčinným přípravkem). Hlavní měřítka účinnosti byla založena na hodnocení práce svalů pomocí bodovacího systému, a to buď skóre neurologického deficitu (NDS) nebo kvantitativního skóre myastenie gravis (QMG). Pacienti s nižším skóre NDS nebo QMG mají lepší svalovou funkci. V další studii, která byla zaměřena na sumační svalový akční potenciál (CMAP), byly sloučeny údaje ze dvou publikovaných studií. CMAP je měřítkem elektrické aktivity svalů. Navíc byl zkoumán účinek přípravku Firdapse na interval QT (elektrickou aktivitu srdce).

Jaký přínos přípravku Firdapse byl prokázán v průběhu studií?

Přípravek Firdapse byl v rámci léčby pacientů s LEMS účinnější než placebo. V jedné studii došlo u pacientů užívajících přípravek Firdapse ke snížení skóre NDS ze 40 na 22 bodů, zatímco u pacientů, kteří užívali placebo, došlo k poklesu na 35 bodů. V druhé studii bylo u pacientů užívajících přípravek Firdapse zaznamenáno snížení skóre QMG o 2 body ve srovnání s nárůstem o 0,25 bodu u pacientů, kteří užívali placebo. Ve třetí kombinované studii došlo u pacientů užívajících přípravek Firdapse ve srovnání s pacienty, kteří užívali placebo, k významnějšímu zlepšení potenciálu CMAP. Ve studii zaměřené na interval QT nebyl u amifampridinu zaznamenán žádný účinek na aktivitu srdce, což dokazují elektrokardiogramy zdravých dobrovolníků účastnících se studie.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Firdapse?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Firdapse jsou parestezie (abnormální pocity, jako je brnění a mravenčení) a gastrointestinální poruchy, jako jsou epigastralgie (bolest v nadbříšku), průjem, nauzea (pocit nevolnosti) a bolest břicha.

Přípravek Firdapse nesmějí užívat pacienti trpící epilepsií a dále pacienti s nekontrolovaným astmatem nebo vrozeným syndromem QT (poruchou srdeční frekvence). Nesmí být podáván souběžně se sultopridem (antipsychotikem) nebo léky, které způsobují prodloužení intervalu QTc (změnu elektrické aktivity srdce). Rovněž nesmí být podáván souběžně s léky, které mají úzké terapeutické okno. Léčivý přípravek s úzkým terapeutickým oknem může snadno vyvolat nežádoucí účinky, je-li podán v dávce o něco málo vyšší, než je doporučená dávka.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Firdapse je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Firdapse schválen?

Výbor CHMP rozhodl, že přínosy přípravku Firdapse převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

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

Jaké informace o přípravku Firdapse nebyly dosud předloženy?

Výrobce přípravku Firdapse předloží další údaje ze studií na experimentálních modelech týkajících se nádorových onemocnění.

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

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku Firdapse byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Firdapse zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci i pacienti.

Společnost, která přípravek Firdapse dodává na trh, navíc byla požádána o zřízení registru pacientů pro pacienty s LEMS. Společnost zajistí, aby všichni zdravotničtí pracovníci, u nichž se předpokládá, že budou přípravek používat, obdrželi informace o tom, jak do tohoto registru zařadit své pacienty.

Další informace o přípravku Firdapse

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Zenas platné v celé Evropské unii dne 23. prosince 2009. Název tohoto léčivého přípravku se dne 28. ledna 2010 změnil na Firdapse.

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek Firdapse 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 Firdapse naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Firdapse 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](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 04-2014.