

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Naglazyme

galsulfasum

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

Co je Naglazyme?

Naglazyme je infuzní roztok (kapání do žíly), který obsahuje léčivou látku galsulfázu (1 mg/ml).

Na co se přípravek Naglazyme používá?

Přípravek Naglazyme se používá k léčbě pacientů s mukopolysacharidózou VI (MPS VI nebo Maroteaux-Lamyho syndromem). Toto onemocnění je vyvoláno nedostatkem enzymu nazývaného N-acetylgalaktosamin-4-sulfatáza, který je v těle zapotřebí ke štěpení látek nazývaných glykosaminoglykany (GAG). Pokud tento enzym není v těle přítomen, glykosaminoglykany nemohou být štěpeny a hromadí se v buňkách. To vyvolává známky onemocnění, z nichž nejvýraznějšími jsou nízký vzrůst, velká hlava a potíže při pohybu. Onemocnění je obvykle diagnostikováno u dětí ve věku od 1 roku do 5 let.

Jelikož počet pacientů s MPS VI je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Naglazyme byl dne 14. února 2001 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Tento lék je dostupný pouze na lékařský předpis.

Jak se přípravek Naglazyme používá?

Léčba přípravkem Naglazyme by měla probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou pacientů s MPS VI nebo podobnými nemocemi. Pro případ naléhavého lékařského zákroku je třeba přípravek podávat tam, kde je k dispozici resuscitační zařízení.

Přípravek Naglazyme se podává jednou týdně v infuzi po dobu čtyř hodin. Doporučená dávka je 1 mg na kilogram tělesné hmotnosti. Za účelem snížení rizika výskytu alergické reakce by pacientům před každou infuzí mělo být podáno antihistaminikum. Pacientům je také možno podat přípravek proti horečce.

Jak přípravek Naglazyme působí?

Přípravek Naglazyme je typ enzymatické substituční léčby. Prostřednictvím enzymatické substituční léčby je pacientům dodáván enzym, který jim chybí. Léčivá látka v přípravku Naglazyme, galsulfáza, je kopií lidského enzymu N-acetylgalaktosamin-4-sulfatázy. Přípravek Naglazyme pomáhá štěpit glykosaminoglykany a zastavit jejich hromadění v buňkách. To může zlepšit příznaky MPS VI, včetně omezení potíží s pohybem.

Galsulfáza se vyrábí metodou označovanou jako „technologie rekombinantní DNA“: je vytvářena buňkou, do které byl vložen gen (DNA), díky němuž je schopná produkovat enzym.

Jak byl přípravek Naglazyme zkoumán?

Přípravek Naglazyme byl porovnáván s placebem (léčbou neúčinným přípravkem) v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 39 pacientů s MPS VI ve věku od 5 do 29 let. Hlavním měřítkem účinnosti byla vzdálenost, kterou byli pacienti schopni ujít po 24 týdnech léčby.

Jaký přínos přípravku Naglazyme byl prokázán v průběhu studií?

Přípravek Naglazyme byl účinnější než placebo. Po 24 týdnech se průměrná vzdálenost, kterou byli pacienti schopni ujít za 12 minut, zvýšila o 109 metrů u pacientů léčených přípravkem Naglazyme a o 18 metrů u pacientů užívajících placebo.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Naglazyme?

V rámci studií patřily mezi nejběžnější vedlejší účinky přípravku Naglazyme (zaznamenané u více než 1 pacienta z 10) bolest v uchu, dyspnoe (potíže s dýcháním), bolest břicha a celková bolest. U pacientů se mohou vyskytnout také reakce na infuzi (například horečka, zimnice, vyrážka a kopřivka). Úplný seznam vedlejších účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Naglazyme je uveden v příbalových informacích.

Přípravek Naglazyme by neměly užívat osoby s možnou přecitlivělostí (alergií) na galsulfázu nebo na kteroukoli jinou složku přípravku.

Na základě čeho byl přípravek Naglazyme schválen?

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) rozhodl, že přínosy přípravku Naglazyme převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby přípravku Naglazyme bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Výbor upozornil na skutečnost, že ačkoli pacienti mladší pěti let nebyli zahrnuti do hlavní studie přípravku Naglazyme, je důležité, aby v případě, že trpí závažnou formou MPS VI, byli léčeni.

Přípravku Naglazyme bylo uděleno rozhodnutí o registraci „za výjimečných okolností“. To znamená, že vzhledem ke vzácné povaze onemocnění nebylo možné získat o přípravku Naglazyme vyčerpávající informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky (EMA) každoročně přezkoumá jakékoli nové informace, které se případně objeví, a podle potřeby bude tento souhrn aktualizovat.

Jaké informace o přípravku Naglazyme nebyly dosud předloženy?

Společnost, která přípravek Naglazyme vyrábí, provádí studie, které jsou zaměřeny na dlouhodobou bezpečnost a účinnost přípravku Naglazyme u těhotných a kojících žen a u dětí ve věku do pěti let, aby zjistila, zda se u nich vyvíjejí protilátky (bílkoviny, které tělo produkuje jako odpověď na přípravek Naglazyme a které by mohly ovlivnit reakci na léčbu), a získala další informace o vedlejších účincích přípravku. Společnost dále provádí studie vedoucí ke stanovení nejvhodnější dávky podávané pacientům v rámci pravidelné dlouhodobé léčby.

Další informace o přípravku Naglazyme:

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Naglazyme platné v celé Evropské unii společnosti BioMarin Europe Limited dne 24. ledna 2006. Registrace je platná po neomezenou dobu.

Shrnutí stanoviska k přípravku Naglazyme, 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.

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek Naglazyme 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 Naglazyme naleznete v příbalových informacích (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 12-2010.