



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR – sammendrag for offentligheden

---

# Firdapse<sup>1</sup>

## amifampridin

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Firdapse. Det forklarer, hvordan Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om anvendelsesbetingelserne for Firdapse.

### Hvad er Firdapse?

Firdapse er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof amifampridin. Det fås som tabletter (10 mg).

### Hvad anvendes Firdapse til?

Firdapse anvendes til behandling af symptomerne på Lambert-Eatons myastene syndrom (LEMS) hos voksne. LEMS er en sygdom, hvor patienterne får muskelsvaghed, fordi nerverne ikke er i stand til at sende elektriske impulser til musklerne.

Da antallet af patienter, der lider af LEMS, er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Firdapse blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 18. december 2002.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

### Hvordan anvendes Firdapse?

Behandling med Firdapse bør kun indledes under overvågning af en læge, som har erfaring med behandling af LEMS.

Den anbefalede startdosis af Firdapse er på 15 mg om dagen, som kan øges med 5 mg hver 4. eller 5. dag til maksimalt 60 mg om dagen. Firdapse tages i doser fordelt på tre eller fire gange om dagen, og en enkelt dosis bør ikke overstige 20 mg. Firdapse skal tages sammen med mad.

---

<sup>1</sup> Tidligere kendt som Zenas.



## Hvordan virker Firdapse?

For at musklerne kan trække sig sammen, skal nerverne sende elektriske impulser til musklerne via en kemisk transmitter, der kaldes acetylcholin. Acetylcholin frigives fra nerveenderne under en "depolariseringsperiode".

Det aktive stof i Firdapse, amifampridin, blokerer kaliumkanalerne, hvilket forhindrer ladede kaliumpartikler i at forlade nervecellerne. Dette forlænger depolariseringsperioden, og det giver nerverne mere tid til at frigive acetylcholin og derved stimulere musklerne til at trække sig sammen.

## Hvordan blev Firdapse undersøgt?

Eftersom lægemidler indeholdende amifampridin er blevet anvendt i Den Europæiske Union (EU) i over 20 år, fremlagde virksomheden også resultater af undersøgelser fra den videnskabelige litteratur om amifampridin til støtte for anvendelsen af Firdapse. I to offentliggjorte undersøgelser, der omfattede i alt 38 voksne med LEMS, blev amifampridin sammenlignet med placebo (en virkningsløs behandling). Det primære effektmål var baseret på en vurdering af, hvor godt musklerne fungerede, ved hjælp af et scoresystem, hvor man enten anvendte scoren for neurologiske lidelser (NDS) eller scoren for kvantitativ myasthenia gravis (QMG). Patienter med lavere NDS- eller QMG-scorer har en bedre muskelfunktion.

I en anden undersøgelse kombinerede man data fra de to offentliggjorte undersøgelser og undersøgte det sammensatte motoriske muskelaktionspotentiale (CMAP). CMAP er en skala for den elektriske aktivitet i musklerne. Desuden blev virkningen af Firdapse på QT-intervallet (den elektriske aktivitet i hjertet) undersøgt

## Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Firdapse?

Firdapse var mere effektivt end placebo til behandling af patienter med LEMS. I den ene af undersøgelserne blev NDS reduceret fra 40 til 22 point hos patienter, der tog Firdapse, sammenlignet med et fald til 35 point hos patienter, der tog placebo. Den anden undersøgelse viste en reduktion i QMG-scoren med 2 point hos patienter, der tog Firdapse, sammenlignet med en stigning på 0,25 point hos patienter, der tog placebo.

I den tredje kombinerede undersøgelse var der større forbedringer i CMAP hos patienter, der tog Firdapse, end hos patienter, der tog placebo. I QT-undersøgelsen kunne det iagttages, at amifampridin ikke havde nogen effekt på hjertets aktivitet, hvilket fremgår af elektrokardiogrammerne for de raske frivillige, der deltog i undersøgelsen.

## Hvilken risiko er der forbundet med Firdapse?

De hyppigste indberettede bivirkninger ved Firdapse er paræstesi (usædvanlig prikkende og snurrende fornemmelse) og gastrointestinale lidelser såsom epigastralgi (smerter i den øvre del af maven), diarré, kvalme og abdominale smerter (mavesmerter).

Firdapse må ikke anvendes til patienter, der har epilepsi, eller til patienter med ukontrolleret astma eller medfødt QT-syndrom (uregelmæssig hjerterytme). Det må ikke anvendes sammen med sultoprid (et antipsykotisk lægemiddel) eller lægemidler, som er kendt for at kunne forårsage QTc-forlængelse (en ændring af hjertets elektriske aktivitet). Det må heller ikke anvendes sammen med lægemidler, der har et snævert terapeutisk indeks. Lægemidler med et snævert terapeutisk indeks kan let give bivirkninger, hvis de gives i en lidt højere dosis end den anbefalede dosis.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Firdapse fremgår af indlægssedlen.

## Hvorfor blev Firdapse godkendt?

CHMP konkluderede, at fordelene ved Firdapse er større end risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse for Firdapse.

Firdapse er blevet godkendt under "særlige omstændigheder". Det betyder, at det ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Firdapse, da sygdommen er sjælden. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

## Hvilke oplysninger afventes der stadig for Firdapse?

Den virksomhed, der fremstiller Firdapse, vil tilvejebringe yderligere oplysninger fra undersøgelser af kræft i forsøgsmodeller.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Firdapse?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Firdapse anvendes så sikkert som muligt. På baggrund af denne er der anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for Firdapse, herunder passende forholdsregler, som patienter og sundhedspersonale bør følge. Desuden skal den virksomhed, der markedsfører Firdapse, oprette et register for patienter med LEMS. Virksomheden skal sikre, at alle sundhedsmedarbejdere, som forventes at anvende lægemidlet, får informationer om, hvordan de skal indføre deres patienter i registret.

## Andre oplysninger om Firdapse:

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Zenas til EUSA Pharma SAS den 23. december 2009. Lægemidlets navn blev ændret til Firdapse den 28. januar 2010.

Den fuldstændige EPAR for Firdapse findes på agenturets websted: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Firdapse, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Firdapse findes på agenturets websted: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 04-2014.