



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR - sammendrag for offentligheden

Naglazyme

galsulfase

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

Hvad er Naglazyme?

Naglazyme er en infusionsvæske, opløsning (drop i en vene), der indeholder det aktive stof galsulfase (1 mg/ml).

Hvad anvendes Naglazyme til?

Naglazyme anvendes til behandling af patienter med mucopolysaccharidose VI (MPS VI eller Maroteaux-Lamy syndrom). Denne sygdom forårsages af mangel på et enzym kaldet N-acetylgalaktosamin 4-sulfatase, som er nødvendigt for at nedbryde stoffer i kroppen kaldet glycosaminoglycaner (GAG). Hvis enzymet ikke er til stede, kan GAG ikke nedbrydes, men ophobes i cellerne. Dette forårsager sygdomstegn, af hvilke de mest iøjnefaldende er lav kropshøjde, stort hoved og nedsat bevægelsesevne. Sygdommen diagnosticeres sædvanligvis hos børn, når de er mellem et og fem år gamle.

Da der kun findes få patienter med MPS VI, blev Naglazyme udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 14. februar 2001.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.



Hvordan anvendes Naglazyme?

Behandlingen med Naglazyme skal overvåges af en læge med erfaring i behandling af patienter med MPS VI eller lignende sygdomme. Det skal indgives et sted, hvor der forefindes genoplivningsudstyr i tilfælde af en livstruende situation.

Naglazyme indgives som en fire timers infusion én gang om ugen. Den anbefalede dosis er 1 mg pr. kg kropsvægt. Inden hver infusion skal patienterne gives et antihistamin for at nedsætte risikoen for en allergisk reaktion. Patienterne kan også gives et lægemiddel for at forebygge feber.

Hvordan virker Naglazyme?

Behandling med Naglazyme er enzymsubstitutionsterapi. Enzymsubstitutionsbehandlingen giver patienterne det enzym, de mangler. Det aktive stof i Naglazyme, galsulfase, er en kopi af det humane enzym N-acetylgalaktosamin 4-sulfatase. Naglazyme medvirker til at nedbryde GAG og forhindre dem i at ophobe sig i cellerne. Det kan forbedre symptomerne på MPS VI, herunder patienternes bevægelsesevne.

Galsulfase produceres via en metode, der er kendt som 'rekombinant DNA-teknologi': Det fremstilles af en celle, som har modtaget et gen (DNA), der sætter den i stand til at producere enzymet.

Hvordan blev Naglazyme undersøgt?

Naglazyme blev sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling) i en hovedundersøgelse, der omfattede 39 patienter med MPS VI i alderen fem til 29 år. Det primære effektmål var, hvor langt patienterne kunne gå efter 24 ugers behandling.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Naglazyme?

Naglazyme var mere effektivt end placebo. Efter 24 uger voksede gennemsnitsafstanden, som kunne tilbagelægges til fods på 12 minutter, med 109 meter hos patienter behandlet med Naglazyme og med 18 meter hos dem, der fik placebo.

Hvilken risiko er der forbundet med Naglazyme?

De hyppigste bivirkninger ved Naglazyme, der kunne observeres i undersøgelserne, (som optræder hos flere end 1 ud af 10 patienter) var ørepine, dyspnø (åndedrætsbesvær), mavesmerter og almindelige smerter. Der kan desuden opstå reaktioner på infusionen (så som feber, kulderystelser, udslæt og nældefeber). Den fuldstændige liste over alle de indberettede bivirkninger ved Naglazyme fremgår af indlægssedlen.

Naglazyme må ikke anvendes af personer, der kan være overfølsomme (allergiske) over for galsulfase eller andre af indholdsstofferne.

Hvorfor blev Naglazyme godkendt?

CHMP fandt, at fordelene ved Naglazyme opvejer risiciene og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse.

Udvalget bemærkede, at der ikke havde deltaget patienter på under fem år i hovedundersøgelsen for Naglazyme, men at det imidlertid er vigtigt at behandle dem, hvis de lider af en svær form for MPS VI.

Naglazyme er blevet godkendt under "særlige omstændigheder". Dette betyder, at det ikke har været muligt at opnå fuldstændige oplysninger om Naglazyme, fordi 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 Naglazyme?

Virksomheden, der fremstiller Naglazyme, gennemfører undersøgelser af dels langtidsikkerheden og effektiviteten af Naglazyme hos gravide og ammende kvinder og børn under fem år for at se, om de udvikler antistoffer (proteiner, der dannes i kroppen som respons på Naglazyme, og som kan indvirke på behandlingsresponsen), dels lægemidlets bivirkninger. Den gennemfører også undersøgelser for at bestemme, hvilken dosis der bedst gives regelmæssigt til patienter på lang sigt.

Andre oplysninger om Naglazyme:

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Naglazyme til BioMarin Europe Limited den 24. januar 2006. Markedsføringstilladelsen er gyldig på ubegrænset tid.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme for Naglazyme findes på agenturets websted under ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare/disease/designation.

Den fuldstændige EPAR for Naglazyme findes på agenturets websted under [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 Naglazyme, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 12-2010.