



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Naglazyme

Galsulfase

Das vorliegende Dokument ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Naglazyme, in dem erläutert wird, wie der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) das Arzneimittel beurteilt hat, um zu seinem befürwortenden Gutachten zur Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen und seinen Empfehlungen zu den Anwendungsbedingungen für Naglazyme zu gelangen.

Was ist Naglazyme?

Naglazyme ist eine Infusionslösung (Tropfinfusion in eine Vene), die den Wirkstoff Galsulfase (1 mg/ml) enthält.

Wofür wird Naglazyme angewendet?

Naglazyme wird zur Behandlung von Patienten mit Mukopolysaccharidose VI (MPS VI oder Maroteaux-Lamy-Syndrom) angewendet. Diese Krankheit wird durch den Mangel eines Enzyms, der sogenannten N-Acetylgalaktosamin-4-Sulfatase, verursacht, das benötigt wird, um bestimmte körpereigene Stoffe, die sogenannten Glykosaminoglykane (GAG), abzubauen. Wenn das Enzym fehlt, können GAG nicht abgebaut werden und sammeln sich in den Zellen an. Dies verursacht die Symptome der Krankheit. Die auffälligsten Symptome sind geringe Körpergröße, ein großer Kopf und Bewegungsstörungen. Die Krankheit wird meist bei Kleinkindern im Alter von einem bis fünf Jahren diagnostiziert.

Da es nur wenige Patienten mit MPS VI gibt, gilt die Krankheit als selten, und Naglazyme wurde am 14. Februar 2001 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.



Wie wird Naglazyme angewendet?

Die Behandlung mit Naglazyme sollte von einem Arzt überwacht werden, der Erfahrung mit der Behandlung von Patienten mit MPS VI oder ähnlichen Krankheiten hat. Das Arzneimittel sollte dort verabreicht werden, wo für den medizinischen Notfall Wiederbelebungsgeräte zur Verfügung stehen.

Naglazyme wird einmal wöchentlich als vierstündige Infusion verabreicht. Die empfohlene Dosis beträgt 1 mg pro Kilogramm Körpergewicht. Vor jeder Infusion sollten die Patienten ein Antihistaminikum zur Minderung des Risikos einer allergischen Reaktion erhalten. Den Patienten kann darüber hinaus ein Arzneimittel zur Vorbeugung gegen Fieber gegeben werden.

Wie wirkt Naglazyme?

Naglazyme ist eine Enzymersatztherapie, die Patienten mit dem Enzym versorgt, an denen es ihnen mangelt. Der Wirkstoff von Naglazyme, Galsulfase, ist eine Kopie des menschlichen Enzyms N-Acetylgalaktosamin-4-Sulfatase. Naglazyme unterstützt den Abbau der GAG und verhindert, dass sie sich in den Zellen ansammeln. Dies kann die Symptome von MPS VI mindern und wirkt sich u. a. auf die Bewegungsfähigkeit der Patienten aus.

Galsulfase wird nach einer Methode hergestellt, die als „rekombinante DNA-Technologie“ bezeichnet wird: Es wird von einer Zelle produziert, in die ein Gen (DNA) eingebracht wurde, das sie zur Bildung des Enzyms befähigt.

Wie wurde Naglazyme untersucht?

Naglazyme wurde in einer Hauptstudie bei 39 Patienten mit MPS VI im Alter zwischen fünf und 29 Jahren mit einem Placebo (Scheinbehandlung) verglichen. Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Entfernung, die die Patienten nach einer Behandlungsdauer von 24 Wochen gehen konnten.

Welchen Nutzen hat Naglazyme in diesen Studien gezeigt?

Naglazyme war wirksamer als das Placebo. Nach 24 Wochen erhöhte sich die durchschnittliche Entfernung, die die Patienten in 12 Minuten gehen konnten, um 109 Meter unter Naglazyme und 18 Meter unter Placebo.

Welches Risiko ist mit Naglazyme verbunden?

Die häufigsten Nebenwirkungen von Naglazyme in Studien (beobachtet bei mehr als 1 von 10 Patienten) waren Ohrenscherzen, Dyspnoe (Atembeschwerden), Bauchschmerzen und allgemein Schmerzen. Bei den Patienten können auch Reaktionen auf die Infusion auftreten (darunter Fieber, Schüttelfrost, Haut- und Nesselausschlag). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Naglazyme berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Naglazyme darf nicht bei Patienten angewendet werden, die möglicherweise überempfindlich (allergisch) gegen Galsulfase oder einen der sonstigen Bestandteile sind.

Warum wurde Naglazyme zugelassen?

Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass die Vorteile von Naglazyme gegenüber den Risiken überwiegen, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Der Ausschuss stellte fest, dass zwar Patienten unter fünf Jahren in der Hauptstudie mit Naglazyme nicht untersucht worden waren, es jedoch wichtig ist, dass sie im Falle einer schweren Form von MPS VI behandelt werden.

Naglazyme wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit bisher nicht möglich war, umfassende Informationen über Naglazyme zu erlangen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Zusammenfassung wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Naglazyme noch erwartet?

Der Hersteller von Naglazyme führt Studien durch, in denen die langfristige Sicherheit und Wirksamkeit von Naglazyme bei Schwangeren und stillenden Müttern sowie bei Kindern unter fünf Jahren untersucht werden und ermittelt wird, ob sie Antikörper bilden (Eiweiße, die der Körper als Reaktion auf Naglazyme bildet und die das Ansprechen auf die Behandlung beeinträchtigen könnten); ebenso werden in den Studien die Nebenwirkungen des Arzneimittels untersucht. Das Unternehmen führt darüber hinaus Studien durch, um die optimale Dosis für eine regelmäßige Langzeitbehandlung von Patienten zu ermitteln.

Weitere Informationen über Naglazyme:

Am 24. Januar 2006 erteilte die Europäische Kommission dem Unternehmen BioMarin Europe Limited eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Naglazyme in der gesamten Europäischen Union. Die Genehmigung für das Inverkehrbringen gilt ohne zeitliche Begrenzung.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Naglazyme finden Sie auf der Website der Agentur unter ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Naglazyme finden Sie auf der Website der Agentur unter ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Naglazyme benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 12-2010 aktualisiert.