



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447407/2016
EMEA/H/C/001249

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Vpriv

Velaglucerase alfa

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Vpriv. Hierin wird erläutert, 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 Vpriv zu gelangen.

Was ist Vpriv?

Vpriv ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Velaglucerase alfa enthält. Es ist als Pulver zur Herstellung einer Infusionslösung (Tropfinfusion in eine Vene) erhältlich.

Wofür wird Vpriv angewendet?

Vpriv wird zur Langzeitbehandlung von Patienten mit Gaucher-Krankheit angewendet. Die Gaucher-Krankheit ist eine seltene Erbkrankheit, bei der die Patienten zu wenig von dem Enzym Glucocerebrosidase haben, das normalerweise ein Fett namens Glucocerebrosid abbaut. Ohne das Enzym sammelt sich Glucocerebrosid im Körper an, typischerweise in Leber, Milz und Knochen, und dies führt zu den Symptomen der Krankheit: Anämie (verminderte Anzahl roter Blutkörperchen), Müdigkeit, häufige Blutergüsse und Blutungsneigung, vergrößerte Milz und Leber sowie Knochenschmerzen und Knochenbrüche.

Vpriv wird bei Patienten angewendet, die an der Gaucher-Krankheit des Typs 1 leiden, die in der Regel die Leber, die Milz und die Knochen betrifft.

Da es nur wenige Patienten mit Gaucher-Krankheit gibt, gilt die Krankheit als selten, und Vpriv wurde am 9. Juni 2010 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.



Wie wird Vpriv angewendet?

Die Behandlung mit Vpriv sollte von einem Arzt überwacht werden, der über Erfahrung in der Behandlung der Gaucher-Krankheit verfügt.

Die empfohlene Dosis von Vpriv beträgt 60 Einheiten/kg Körpergewicht und wird als einstündige Infusion einmal alle zwei Wochen verabreicht. Die Dosis kann je nach den jeweiligen Symptomen der Patienten und dem Ansprechen auf die Behandlung angepasst werden. Die ersten drei Infusionen sind in einer Klinik zu verabreichen; die nachfolgenden Infusionen können jedoch zu Hause verabreicht werden, wenn der Patient das Arzneimittel gut verträgt. In diesem Fall sollten die zu Hause verabreichten Infusionen von einem in Notfallmaßnahmen geschulten Angehörigen der Heilberufe überwacht werden.

Wie wirkt Vpriv?

Die Gaucher-Krankheit tritt auf, wenn ein Mangel des Enzyms Glucocerebrosidase vorliegt. Velaglucerase alfa ersetzt das bei der Gaucher-Krankheit fehlende Enzym, hilft somit Glucocerebroside abzubauen und verhindert, dass es sich im Körper ansammelt.

Wie wurde Vpriv untersucht?

Vpriv wurde in einer Hauptstudie bei 35 Patienten (einschließlich neun Kindern) mit Typ-1-Gaucher-Krankheit mit Imiglucerase (einem anderen Arzneimittel gegen die Gaucher-Krankheit) verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Verringerung der Anämie, eines der Symptome der Krankheit, nach 41 Wochen. In der Studie wurde auch untersucht, ob sich andere Symptome der Krankheit verringerten, wie beispielsweise der Anstieg der Blutplättchen und die Verkleinerung von Leber und Milz.

Welchen Nutzen hat Vpriv in diesen Studien gezeigt?

Vpriv verringerte die Anämie ebenso wirksam wie Imiglucerase. Vpriv erhöhte die Menge des Hämoglobins (der Eiweißstoff in den roten Blutkörperchen, der den Sauerstoff transportiert) um durchschnittlich 1,6 Gramm pro Deziliter (von 11,4 g/dl); Imiglucerase erhöhte die Hämoglobinmenge um durchschnittlich 1,5 g/dl (von 10,6 g/dl). Die Studie zeigte außerdem, dass Vpriv bei der Linderung anderer Anzeichen der Gaucher-Krankheit ebenso wirksam war wie Imiglucerase.

Welches Risiko ist mit Vpriv verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Vpriv (beobachtet bei mehr als 1 von 10 Patienten) sind infusionsbedingte Reaktionen, wie beispielsweise Kopfschmerzen, Schwindel, Hypotonie (niedriger Blutdruck), Hypertonie (hoher Blutdruck), Nausea (Übelkeit), Asthenie (Schwäche) oder Fatigue (Erschöpfung), und Pyrexie (Fieber) oder erhöhte Körpertemperatur. Die schwerwiegendsten Nebenwirkungen sind Überempfindlichkeitsreaktionen (allergische Reaktionen).

Vpriv darf nicht bei Personen angewendet werden, die stark allergisch gegen Velaglucerase alfa oder einen der sonstigen Bestandteile sind.

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Vpriv berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Vpriv zugelassen?

Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Vpriv gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Vpriv ergriffen?

Das Unternehmen, das Vpriv in Verkehr bringt, wird allen Ärzten und Patienten, die erwartungsgemäß Vpriv anwenden werden, Schulungsmaterial zur Verfügung stellen, das Informationen darüber enthält, wie man das Risiko infusionsbedingter Reaktionen bewältigt, wenn das Arzneimittel zu Hause verabreicht wird.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Vpriv, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden ebenfalls in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Vpriv

Am 26. August 2010 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Vpriv in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Vpriv finden Sie auf der Website der Agentur: [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://www.ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Vpriv benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Vpriv finden Sie auf der Website der Agentur: [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://www.ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 06-2016 aktualisiert.