

EMA/741937/2015
EMA/H/C/000477

Περίληψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) για το κοινό

Aldurazyme λαρονιδάση

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Aldurazyme. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Aldurazyme.

Τι είναι το Aldurazyme;

Το Aldurazyme είναι διάλυμα προς έγχυση (ενστάλαξη) σε φλέβα που περιέχει τη δραστική ουσία λαρονιδάση.

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Aldurazyme;

Το Aldurazyme χορηγείται σε ασθενείς με επιβεβαιωμένη διάγνωση βλεννοπολυσακχαρίδωσης I (MPS I, ανεπάρκεια της α-L-iduronidase) για την αγωγή των μη νευρολογικών συμπτωμάτων της νόσου (που δεν συνδέονται με τον εγκέφαλο ή το νευρικό σύστημα). Η MPS I είναι μια σπάνια κληρονομική ασθένεια, όπου τα επίπεδα ενζυμικής δραστηριότητας της α-L-iduronidase είναι πολύ κατώτερα του φυσιολογικού. Αυτό σημαίνει ότι ορισμένες ουσίες (γλυκοζαμινογλυκάνες/GAGs) δεν διασπώνται και άρα συσσωρεύονται στα περισσότερα όργανα του οργανισμού και τα καταστρέφουν. Τα μη νευρολογικά συμπτώματα της MPS I μπορεί να είναι διόγκωση του συκωτιού, ακαμψία των αρθρώσεων που περιορίζει την κίνηση, περιορισμένος όγκος των πνευμόνων, καρδιοπάθεια ή πάθηση των ματιών.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πώς χρησιμοποιείται το Aldurazyme;

Η αγωγή με Aldurazyme πρέπει να γίνεται υπό την επίβλεψη ιατρού με εμπειρία στη θεραπεία της MPS I ή άλλων κληρονομικών μεταβολικών νόσων. Το Aldurazyme πρέπει να χορηγείται σε κατάλληλο νοσοκομείο ή κλινική όπου υπάρχει διαθέσιμος εξοπλισμός ανάνηψης. Επίσης μπορεί να χρειαστεί να χορηγηθούν ορισμένα φάρμακα πριν από την έγχυση ώστε να αποτραπεί τυχόν αλλεργική αντίδραση.

Το Aldurazyme χορηγείται μία φορά την εβδομάδα με έγχυση. Το Aldurazyme προορίζεται για μακροχρόνια χρήση.

Πώς δρα το Aldurazyme;

Η δραστική ουσία του Aldurazyme, η λαρονιδάση, είναι αντίγραφο του ανθρώπινου ενζύμου α-L-iduronidase. Παράγεται με μια μέθοδο γνωστή ως «τεχνολογία ανασυνδυασμένου DNA»: το ένζυμο παρασκευάζεται από κύτταρα στα οποία έχει ενσωματωθεί ένα γονίδιο (DNA) το οποίο τα καθιστά ικανά να παράγουν λαρονιδάση. Η λαρονιδάση χορηγείται ως «θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης», δηλαδή αντικαθιστά το ένζυμο που λείπει από τους ασθενείς που πάσχουν από MPS I. Με αυτόν τον τρόπο ελέγχονται τα συμπτώματα της MPS I και βελτιώνεται η ποιότητα ζωής του ασθενούς.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Aldurazyme;

Το Aldurazyme συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) σε 45 ασθενείς ηλικίας έξι ετών και άνω με επιβεβαιωμένη διάγνωση MPS I. Βασικοί δείκτες μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η εκπνεόμενη ζωτική χωρητικότητα (FVC, μέτρο ένδειξης της καλής λειτουργίας των πνευμόνων) και η απόσταση που μπόρεσαν να διανύσουν οι ασθενείς στη δοκιμασία βάρδιας έξι λεπτών. Οι μετρήσεις πραγματοποιήθηκαν πριν και μετά από 26 εβδομάδες αγωγής. Κατόπιν, η μελέτη συνεχίστηκε για χρονικό διάστημα 4 ετών και όλοι οι ασθενείς υποβλήθηκαν σε θεραπεία με Aldurazyme.

Το Aldurazyme μελετήθηκε επίσης σε 20 παιδιά κάτω των πέντε ετών στα οποία χορηγήθηκε Aldurazyme για ένα χρόνο. Στη μελέτη εξετάστηκε κυρίως η ασφάλεια του φαρμάκου, αλλά μετρήθηκε και η αποτελεσματικότητά του στη μείωση των επιπέδων των GAG στα ούρα και του μεγέθους του ήπατος.

Ποιο είναι το όφελος του Aldurazyme σύμφωνα με τις μελέτες;

Η μελέτη έδειξε ότι το Aldurazyme βελτίωσε τόσο την FVC όσο και την ικανότητα βάρδιας των ασθενών μετά από 26 εβδομάδες. Η επίδραση του φαρμάκου διατηρήθηκε για διάστημα τεσσάρων ετών.

Σε παιδιά ηλικίας κάτω των πέντε ετών, το Aldurazyme μείωσε τα επίπεδα των GAG στα ούρα κατά 60% περίπου, ενώ τα μισά παιδιά που ακολούθησαν αγωγή με Aldurazyme είχαν φυσιολογικό μέγεθος ήπατος στο τέλος της μελέτης.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Aldurazyme;

Οι συνηθέστερες ανεπιθύμητες ενέργειες που παρατηρήθηκαν με το Aldurazyme είναι αντιδράσεις που προκαλούνται από την έγχυση και όχι από το ίδιο το φάρμακο. Ορισμένες από αυτές είναι σοβαρές, αλλά τείνουν να μειωθούν με την πάροδο του χρόνου. Οι συνηθέστερες ανεπιθύμητες ενέργειες σε ασθενείς άνω των πέντε ετών (που παρατηρήθηκαν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι πονοκέφαλος, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), κοιλιακός πόνος (στομαχικός πόνος), εξάνθημα, αρθροπάθεια (βλάβη στις αρθρώσεις), αρθραλγία (πόνος στις αρθρώσεις), οσφυαλγία (πόνος στη μέση), πόνος στα άκρα (χέρια και πόδια), έξαψη, πυρετός και αντιδράσεις στο σημείο της έγχυσης. Σε παιδιά κάτω των πέντε ετών πολύ συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι αυξημένη πίεση αίματος, μειωμένος κορεσμός οξυγόνου (ένδειξη της καλής λειτουργίας των πνευμόνων), ταχυκαρδία (ταχύς καρδιακός ρυθμός), πυρετός και ρίγη. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Aldurazyme περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Σχεδόν όλοι οι ασθενείς που λαμβάνουν Aldurazyme αναπτύσσουν αντισώματα (πρωτεΐνες που παράγονται ως αντίδραση στο Aldurazyme). Η επίδραση των αντισωμάτων στην ασφάλεια και στην αποτελεσματικότητα του φαρμάκου δεν έχει εξακριβωθεί πλήρως.

Το Aldurazyme δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που παρουσιάζουν σοβαρές αλλεργικές αντιδράσεις στη λαρονιδάση ή σε οποιοδήποτε άλλο συστατικό του φαρμάκου.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Aldurazyme;

Η CHMP αποφάνθηκε ότι το Aldurazyme ελέγχει αποτελεσματικά τα συμπτώματα της MPS I. Η επιτροπή έκρινε ότι τα οφέλη του Aldurazyme υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Αρχικά το Aldurazyme εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», λόγω του ότι η νόσος είναι σπάνια και οι πληροφορίες που παρασχέθηκαν τη στιγμή της έγκρισης ήταν περιορισμένες. Η εταιρεία υπέβαλε τις συμπληρωματικές πληροφορίες που της ζητήθηκαν και το καθεστώς των «εξαιρετικών περιστάσεων» έληξε στις 16 Δεκεμβρίου 2015.

Λοιπές πληροφορίες για το Aldurazyme

Στις 10 Ιουνίου 2003, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Aldurazyme.

Η πλήρης EPAR του Aldurazyme διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Aldurazyme διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 11-2015.