



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Περίληψη EPAR για το κοινό

---

# Naglazyme

## γαλσουλφάση

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Naglazyme. 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 Naglazyme.

### Τι είναι το Naglazyme;

Το Naglazyme είναι διάλυμα προς έγχυση (ενστάλαξη σε φλέβα) που περιέχει τη δραστική ουσία γαλσουλφάση (1 mg/ml).

### Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Naglazyme;

Το Naglazyme χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών που πάσχουν από βλεννοπολυσακχαρίδωση VI (MPS τύπου VI ή σύνδρομο Maroteaux-Lamy). Η συγκεκριμένη νόσος προκαλείται από την έλλειψη ενός ενζύμου, της N-ακετυλογαλακτοζαμίνης 4-σουλφατάσης, η οποία είναι απαραίτητη για τη διάσπαση των ουσιών του οργανισμού που ονομάζονται γλυκοζαμινογλυκάνες (GAG). Εάν το ένζυμο απουσιάζει, δεν είναι δυνατή η διάσπαση των γλυκοζαμινογλυκανών, οι οποίες στη συνέχεια συσσωρεύονται στα κύτταρα προκαλώντας τα συμπτώματα της νόσου. Τα σημαντικότερα από αυτά είναι χαμηλό ανάστημα, μεγάλο κεφάλι και δυσκολία στην κίνηση. Η διάγνωση της νόσου συνήθως γίνεται σε παιδιά ηλικίας ενός έως πέντε ετών.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με MPS VI και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Naglazyme χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 14 Φεβρουαρίου 2001.

**Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.**



## **Πώς χρησιμοποιείται το Naglazyme;**

Η θεραπεία με Naglazyme πρέπει να παρακολουθείται από γιατρό με πείρα στη θεραπεία ασθενών με MPS VI ή παρόμοιες ασθένειες. Το φάρμακο πρέπει να χορηγείται σε περιβάλλον που διαθέτει εξοπλισμό ανάνηψης για την αντιμετώπιση επειγόντων ιατρικών περιστατικών.

Το Naglazyme χορηγείται μία φορά την εβδομάδα με έγχυση διάρκειας τεσσάρων ωρών. Η συνιστώμενη δόση είναι 1 mg ανά κιλό σωματικού βάρους. Πριν από κάθε έγχυση, πρέπει να χορηγείται στους ασθενείς αντιισταμινικό για τη μείωση του κινδύνου αλλεργικής αντίδρασης, ενώ μπορεί, επίσης, να χορηγηθεί αντιπυρετικό.

## **Πώς δρα το Naglazyme;**

Το Naglazyme είναι θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης. Η θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης παρέχει στους ασθενείς το ένζυμο που τους λείπει. Η δραστική ουσία του Naglazyme, η γαλσουλφάση, είναι αντίγραφο του ανθρώπινου ενζύμου N-ακετυλογαλακτοζαμίνη 4-σουλφατάση. Το Naglazyme βοηθά στη διάσπαση των GAG και σταματά τη συσσώρευσή τους στα κύτταρα. Κατ' αυτόν τον τρόπο μπορεί να βελτιώσει τα συμπτώματα της MPS VI, περιλαμβανομένης της ικανότητας των ασθενών για κίνηση.

Η γαλσουλφάση παράγεται με μια μέθοδο γνωστή ως «τεχνολογία ανασυνδυασμένου DNA»: παράγεται από ένα κύτταρο που λαμβάνει ένα γονίδιο (DNA), το οποίο το καθιστά ικανό να παράγει το ένζυμο.

## **Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Naglazyme;**

Το Naglazyme συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική αγωγή) σε μία κύρια μελέτη, στην οποία συμμετείχαν 39 ασθενείς ηλικίας 5 έως 29 ετών που έπασχαν από MPS VI. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η απόσταση που ήταν σε θέση να διανύσουν οι ασθενείς ύστερα από 24 εβδομάδες θεραπείας.

## **Ποιο είναι το όφελος του Naglazyme σύμφωνα με τις μελέτες;**

Το Naglazyme αποδείχθηκε αποτελεσματικότερο από το εικονικό φάρμακο. Έπειτα από θεραπεία 24 εβδομάδων, η μέση απόσταση που διανύθηκε σε 12 λεπτά αυξήθηκε κατά 109 μέτρα στους ασθενείς που έλαβαν Naglazyme και κατά 18 μέτρα στους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Naglazyme;**

Στις μελέτες, οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Naglazyme (εμφανίστηκαν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) ήταν πόνος στα αυτιά, δύσπνοια (δυσκολία στην αναπνοή), κοιλιακοί πόνοι και γενικός πόνος. Οι ασθενείς μπορεί επίσης να παρουσιάσουν αντιδράσεις στην έγχυση (όπως πυρετό, ρίγη, εξάνθημα και κνίδωση). Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Naglazyme περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Naglazyme δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που ενδέχεται να παρουσιάζουν υπερευαισθησία (αλλεργία) στη γαλσουλφάση ή σε οποιοδήποτε άλλο από τα συστατικά του φαρμάκου.

## **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Naglazyme;**

Η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του Naglazyme υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Η επιτροπή επεσήμανε ότι είναι σημαντικό να χορηγείται το φάρμακο σε ασθενείς ηλικίας κάτω των 5 ετών που πάσχουν από σοβαρή μορφή της νόσου MPS VI, παρότι στη βασική μελέτη του δεν συμμετείχαν ασθενείς αυτής της ηλικιακής ομάδας.

Το Naglazyme εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων». Αυτό σημαίνει ότι, λόγω της σπανιότητας της νόσου, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Naglazyme. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα αξιολογεί ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα περίληψη θα ενημερώνεται αναλόγως.

### **Ποια στοιχεία για το Naglazyme αναμένεται να υποβληθούν;**

Η εταιρεία που παρασκευάζει το Naglazyme πραγματοποιεί μελέτες, προκειμένου να καταδειχθεί η μακροπρόθεσμη ασφάλεια και αποτελεσματικότητα του φαρμάκου για έγκυες και θηλάζουσες γυναίκες και για παιδιά κάτω των πέντε ετών, να διαπιστωθεί κατά πόσο οι ασθενείς αναπτύσσουν αντισώματα (πρωτεΐνες που παράγει ο οργανισμός αντιδρώντας στο Naglazyme και οι οποίες θα μπορούσαν να επηρεάσουν την ανταπόκριση στη θεραπεία), καθώς και να εξετασθούν οι ανεπιθύμητες ενέργειες του φαρμάκου. Η εταιρεία διενεργεί, επίσης, μελέτες για τον καθορισμό της βέλτιστης δοσολογίας σε τακτική μακροχρόνια χορήγηση.

### **Λοιπές πληροφορίες για το Naglazyme**

Στις 24 Ιανουαρίου 2006 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, στην BioMarin Europe Limited για το Naglazyme. Η άδεια κυκλοφορίας ισχύει επ' αόριστον.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Naglazyme διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Η πλήρης ευρωπαϊκή δημόσια έκθεση αξιολόγησης (EPAR) του Naglazyme διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Naglazyme, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην ευρωπαϊκή δημόσια έκθεση αξιολόγησης) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 12-2010.