



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447408/2016
EMA/H/C/001249

Περίληψη EPAR για το κοινό

Vpriv

βελαγλουκεράση άλφα

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

Τι είναι το Vpriv;

Το Vpriv είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία βελαγλουκεράση άλφα. Διατίθεται σε μορφή σκόνης για την παρασκευή διαλύματος προς έγχυση (ενστάλαξη σε φλέβα).

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Vpriv;

Το Vpriv χορηγείται για τη μακροχρόνια θεραπεία ασθενών με νόσο του Gaucher. Η νόσος του Gaucher είναι μια σπάνια κληρονομική διαταραχή. Τα άτομα με τη συγκεκριμένη νόσο δεν διαθέτουν επαρκή ποσότητα του ενζύμου γλυκοσερεβροσιδάση, το οποίο υπό κανονικές συνθήκες διασπά την λιπαρή ουσία γλυκοσερεβροσιδίο. Χωρίς το ένζυμο αυτό, η γλυκοκερεβροσιδή συσσωρεύεται στον οργανισμό, ιδίως στο ήπαρ, τον σπλήνα και τα οστά, προκαλώντας τα συμπτώματα της νόσου: αναιμία (χαμηλός αριθμός αιμοσφαιρίων), κόπωση, εύκολη δημιουργία μωλώπων και τάση για αιμορραγία, σπληνομεγαλία και ηπατομεγαλία (διόγκωση του σπλήνα και του ήπατος), πόνο στα οστά και κατάγματα.

Το Vpriv χορηγείται σε ασθενείς που πάσχουν από την νόσο Gaucher τύπου 1, τη μορφή που συνήθως προσβάλλει το ήπαρ, τον σπλήνα και τα οστά.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με νόσο του Gaucher και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Vpriv χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 9 Ιουνίου 2010.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.



Πώς χρησιμοποιείται το Vpriv;

Η θεραπεία με Vpriv πρέπει να επιβλέπεται από γιατρό με εμπειρία στη διαχείριση ασθενών με νόσο του Gaucher.

Η συνιστώμενη δόση του Vpriv είναι 60 μονάδες/κιλό σωματικού βάρους, η οποία χορηγείται μέσω έγχυσης διάρκειας μίας ώρας μία φορά ανά δύο εβδομάδες. Η δόση μπορεί να προσαρμόζεται σύμφωνα με τα συμπτώματα του κάθε ασθενούς και την ανταπόκρισή του στη θεραπεία. Οι πρώτες τρεις εγχύσεις χορηγούνται σε νοσοκομειακό περιβάλλον, αλλά οι υπόλοιπες μπορούν να χορηγηθούν κατ' οίκον εφόσον το φάρμακο είναι καλώς ανεκτό από τον ασθενή. Οι εγχύσεις κατ' οίκον πρέπει να χορηγούνται υπό την επίβλεψη επαγγελματία του τομέα της υγείας εκπαιδευμένου στην αντιμετώπιση περιστατικών εκτάκτου ανάγκης.

Πώς δρα το Vpriv;

Η νόσος του Gaucher προκαλείται λόγω της έλλειψης ενός ενζύμου που ονομάζεται γλυκοσερεβροσιδάση. Η βελαγλουκεράση άλφα αντικαθιστά το ένζυμο που λείπει από τους ασθενείς με νόσο του Gaucher, συμβάλλοντας έτσι στη διάσπαση του γλυκοσερεβροσιδίου και διακόπτοντας τη συσσώρευσή του στον οργανισμό.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Vpriv;

Σε μία κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 35 ασθενείς (συμπεριλαμβανομένων 9 παιδιών) με νόσο του Gaucher τύπου 1, το Vpriv συγκρίθηκε με ιμιγλυκεράση (άλλο φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της νόσου του Gaucher). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η βελτίωση της αναιμίας, ενός από τα συμπτώματα της νόσου, ύστερα από 41 εβδομάδες. Η μελέτη εξέτασε επίσης τον έλεγχο και άλλων σημείων της νόσου, όπως την αύξηση του αριθμού των αιμοπεταλίων και τη μείωση του μεγέθους του ήπατος και του σπλήνα.

Ποιο είναι το όφελος του Vpriv σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Vpriv ήταν εξίσου αποτελεσματικό με την ιμιγλυκεράση στη μείωση της αναιμίας. Το Vpriv αύξησε την ποσότητα της αιμοσφαιρίνης (της πρωτεΐνης που υπάρχει στα ερυθρά αιμοσφαίρια και μεταφέρει το οξυγόνο) κατά μέσο όρο 1,6 γραμμάρια ανά δεκάλιτρο (από 11,4 g/dl) ενώ η ιμιγλυκεράση αύξησε την ποσότητα της αιμοσφαιρίνης κατά μέσο όρο 1,5 g/dl (από 10,6 g/dl). Από τη μελέτη προέκυψε επίσης ότι το Vpriv είναι εξίσου αποτελεσματικό με την ιμιγλυκεράση στον έλεγχο άλλων σημείων της νόσου του Gaucher.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Vpriv;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Vpriv (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι αντιδράσεις που σχετίζονται με την έγχυση, και στις οποίες συμπεριλαμβάνονται πονοκέφαλος, ζάλη, υπόταση (χαμηλή αρτηριακή πίεση), υπέρταση (υψηλή αρτηριακή πίεση), ναυτία, εξασθένιση (αδυναμία) ή κόπωση (κούραση) και πυρεξία (πυρετός) ή αυξημένη θερμοκρασία σώματος. Οι σοβαρότερες ανεπιθύμητες ενέργειες είναι αντιδράσεις υπερευαισθησίας (αλλεργικές αντιδράσεις).

Το Vpriv δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που παρουσιάζουν σοβαρές αλλεργικές αντιδράσεις στη βελαγλουκεράση άλφα ή σε οποιοδήποτε άλλο από τα συστατικά του φαρμάκου.

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Vpriv περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Vpriv;

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

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Vpriv;

Η παρασκευάστρια εταιρεία του Vpriv θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό σε όλους τους γιατρούς και τους ασθενείς που πρόκειται να χρησιμοποιήσουν το Vpriv, με το οποίο θα τους ενημερώνει για τον τρόπο διαχείρισης των αντιδράσεων που συνδέονται με την έγχυση του φαρμάκου όταν αυτό χορηγείται κατ' οίκον.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Vpriv.

Λοιπές πληροφορίες για το Vpriv

Στις 26 Αυγούστου 2010 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Vpriv.

Η πλήρης EPAR του Vpriv διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://EMA.website/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Vpriv, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Vpriv διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://EMA.website/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 06-2016.