



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/529536/2016
EMA/H/C/000700

Резюме на EPAR за обществено ползване

Elaprase

idursulfase

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Elaprase. В него се разяснява как Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) е оценил лекарството, за да даде положително становище за разрешаване за употреба и препоръки за условията на употреба на Elaprase.

Какво представлява Elaprase?

Elaprase е лекарство, съдържащо активното вещество идурсулфаза (*idursulfase*). Предлага се под формата на концентрат за приготвяне на разтвор за инфузия (вливане) във вена.

За какво се използва Elaprase?

Elaprase се използва за лечение на пациенти със синдром на Hunter. Предназначен е за продължителна употреба.

Синдромът на Hunter, известен още като мукополизахаридоза тип II (МПЗ II), е рядко наследствено заболяване, което засяга преди всичко мъже. Пациентите със синдром на Hunter не произвеждат ензима, наречен идуронат-2-сулфатаза. Този ензим е необходим за разграждане на вещества в тялото, наречени глюкозаминогликани (GAGs). Тъй като при пациенти със синдром на Hunter тези вещества не могат да се разградят, GAGs постепенно се натрупват в повечето органи на тялото и ги увреждат. Това води до широк спектър от симптоми, по-специално затруднено дишане и затруднено ходене. Ако не се лекуват, с течение на времето тези симптоми се влошават.

Тъй като броят на пациентите със синдром на Hunter е малък, болестта се счита за „рядка“ и Elaprase е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 11 декември 2001 г.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

Как се използва Elaprase?

Лечението с Elaprase трябва да се наблюдава от лекар или от друг медицински специалист с опит в лечението на пациенти със заболяването МПЗ II или други наследствени заболявания, които влияят на метаболизма.

Elaprase се прилага всяка седмица под формата на интравенозна инфузия, в доза от 0,5 mg на килограм телесно тегло. Инфузията трябва да е с продължителност 3 часа. Все пак, ако пациентът не развие свързани с инфузията реакции (обрив, сърбеж, повишена температура, главоболие, високо кръвно налягане или зачервяване на лицето), продължителността на инфузията може да бъде редуцирана постепенно до един час.

Пациенти, лекувани в клиника в продължение на няколко месеца и понесли инфузиите добре, може да започнат инфузиите в домашни условия. Инфузиите в домашни условия трябва да се наблюдават от лекар или от медицинска сестра.

Как действа Elaprase?

Активното вещество в Elaprase, идурсулфаза, е копие на човешкия ензим идуронат-2-сулфатаза. То представлява заместител на ензима, който липсва или е недостатъчен при пациенти със синдрома на Hunter. Осигуряването на ензима ще спомогне за разграждането на GAGs и ще спре натрупването им в тъканите на тялото, като спомогне за облекчаване на симптомите на заболяването.

Как е проучен Elaprase?

Основното проучване на Elaprase обхваща 96 мъже на възраст между 5 и 31 години и го сравнява с плацебо (сляпо лечение). Основните мерки за ефективност са функцията на белите дробове („форсираният витален капацитет“ — максималното количество въздух, което пациентът може да издиша) и разстоянието, което пациентите могат да извървят за шест минути. Те измерват комбинирания ефекти на заболяването върху сърцето, белите дробове, ставите и други органи. Тези измервания са направени в началото на проучването и след една година лечение.

Какви ползи от Elaprase са установени в проучванията?

Elaprase подобрява функцията на белите дробове и способността за ходене на пациентите. В началото на проучването пациентите могат да изминат средно 395 метра за шест минути. След една година пациентите, приемали Elaprase, могат да извървят средно още 43 метра, а пациентите, приемали плацебо, могат да извървят още 8 метра. Освен това лекарството води до подобряване функцията на белите дробове, а при пациентите на плацебо е забелязано леко влошаване.

Какви са рисковете, свързани с Elaprase?

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Elaprase са свързани с инфузията, включително кожни реакции (обрив или сърбеж), повишена температура, главоболие, високо кръвно налягане и зачервяване на лицето. Други нежелани лекарствени реакции, наблюдавани при 1 на 10 пациенти, са хрипове, диспнея (затруднено дишане), абдоминална (коремна) болка, гадене (позиви за повръщане), диспепсия (киселини), диария, повръщане, подуване на мястото на инфузията и гръдна болка. При някои от пациентите, приемащи Elaprase, се наблюдават тежки

алергични реакции. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Elaprase, вижте листовката.

Elaprase не трябва да се прилага при пациенти, които в миналото са имали тежка или животозастрашаваща алергична (анафилактична) реакция към идурсулфаза или към някоя от останалите съставки, ако алергията им не може да бъде контролирана. Ако се прилага на пациенти, които в миналото са имали тежки алергични реакции, Elaprase трябва да се прилага с повишено внимание, като по време на инфузията трябва да има обучен персонал и оборудване за реанимация.

Защо Elaprase е разрешен за употреба?

CHMP заключи, че макар и ограничени, подобренията, показани по време на проучването, представляват клинична полза при лечението на синдрома на Hunter. Комитетът реши, че ползите от Elaprase са по-големи от рисковете, и препоръча да се издаде разрешение за употреба.

Elaprase е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Това означава, че поради рядкото разпространение на синдрома на Hunter не е било възможно да се получи пълна информация за Elaprase. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и това резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Elaprase?

Фирмата, която предлага Elaprase на пазара, ще проучи дългосрочните ефекти на лекарството, по-специално за белите дробове, сърцето и кръвоносните съдове, както и дали тялото произвежда антитела, които могат да повлияят на безопасността и ефективността на лекарството.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Elaprase?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Elaprase, които да се спазват от здравните специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Допълнителна информация за Elaprase:

На 8 януари 2007 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Elaprase, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Elaprase може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация относно лечението с Elaprase прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Elaprase може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Дата на последно актуализиране на текста 09-2016.