



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR - sammendrag for offentligheden**

---

# Elaprase

## idursulfase

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Elaprase. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om, hvordan Elaprase skal anvendes.

### **Hvad er Elaprase?**

Elaprase er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof idursulfase. Det leveres som et koncentrat, der blandes til en infusionsvæske, opløsning (drop i en vene).

### **Hvad anvendes Elaprase til?**

Elaprase anvendes til behandling af patienter med Hunters syndrom. Lægemidlet er beregnet til langtidsbehandling.

Hunters syndrom, der også er kendt som mukopolysakkaridose II, er en sjælden, arvelig sygdom, som primært forekommer hos mandlige patienter. Patienter med Hunters syndrom producerer ikke et enzym kaldet iduronate-2-sulfatase. Dette enzym er nødvendigt for at nedbryde de stoffer i kroppen, som kaldes glykosaminglykaner (GAG). Da patienter med Hunters syndrom ikke kan nedbryde disse stoffer, ophober glykosaminglykanerne sig gradvist i de fleste af kroppens organer og beskadiger dem. Dette giver anledning til en lang række symptomer, især vejrtrækningsbesvær og gangbesvær. Uden behandling forværres disse symptomer med tiden.

Da antallet af patienter med Hunters syndrom er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Elaprase blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 11. december 2001.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



## Hvordan anvendes Elaprase?

Behandling med Elaprase bør overvåges af en læge eller en anden sundhedsuddannet person, som har erfaring i behandling af patienter med Hunters syndrom eller andre arvelige sygdomme, der påvirker stofskiftet.

Elaprase gives hver uge som en infusion i en vene i en dosis på 0,5 mg pr. kg legemsvægt. Infusionen bør strække sig over tre timer. Så længe patienten ikke får infusionsreaktioner (udslæt, kløe, feber, hovedpine, forhøjet blodtryk eller rødme), kan infusionstiden dog gradvis nedsættes til en time.

Patienter, som tåler infusionerne godt i en periode på flere måneder på en klinik, kan eventuelt begynde at få dem hjemme. Hjemmeinfusioner skal foretages under opsyn af en læge eller sygeplejerske.

## Hvordan virker Elaprase?

Det aktive stof i Elaprase, idursulfase, er en kopi af det humane enzym iduronat-2-sulfatase. Det erstatter det enzym, der mangler eller er utilstrækkeligt hos patienter med Hunters syndrom. Tilføjelsen af enzymet forbedrer nedbrydningen af glykosaminglykanerne og forhindrer, at de hober sig op i kropsvæv. På den måde kan symptomerne på sygdommen mindskes.

## Hvordan blev Elaprase undersøgt?

Hovedundersøgelsen af Elaprase omfattede 96 mandlige patienter i alderen 5-31 år, og heri sammenlignedes det med placebo (en uvirksom behandling). Det primære effektmål var lungefunktionen ("forceret vitalkapacitet", som er den maksimale mængde luft, patienten kunne udånde) og den distance, patienterne kunne gå på seks minutter, hvilket måler sygdommens kombinerede indvirkning på hjerte, lunger, led og andre organer. Disse målinger blev foretaget ved undersøgelsens start og efter et års behandling.

## Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Elaprase?

Elaprase forbedrede lungefunktionen og den afstand, patienterne kunne gå. Ved undersøgelsens start kunne patienterne gå gennemsnitligt ca. 395 m på seks minutter. Efter et år kunne de patienter, der fik Elaprase, gå yderligere 43 m i gennemsnit, og de patienter, der fik placebo, kunne gå yderligere 8 m. Lægemidlet forbedrede også lungefunktionen, mens de patienter, der fik placebo, oplevede en let forværring.

## Hvilken risiko er der forbundet med Elaprase?

De hyppigste bivirkninger ved Elaprase er forbundet med infusionen, herunder hudreaktioner (udslæt eller kløe), feber, hovedpine, forhøjet blodtryk og rødme. Andre bivirkninger, som optræder hos flere end 1 ud af 10 patienter, er hiven efter vejret, dyspnø (vejrtrækningsbesvær), mavesmerter, kvalme, dyspepsi (halsbrand), diarré, opkastning, hævelse på infusionsstedet og brystmerter. Der er forekommet svære allergiske reaktioner hos nogle patienter, som fik Elaprase. Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Elaprase fremgår af indlægssedlen.

Elaprase må ikke anvendes til personer, der har haft en svær eller livstruende allergisk reaktion (anafylaktisk reaktion) over for idursulfase eller andre af indholdsstofferne, hvis deres allergi ikke kan kontrolleres. Hvis Elaprase gives til patienter, der tidligere har haft svære allergiske reaktioner, skal det gives med forsigtighed, og uddannet personale og udstyr til akut genoplivning skal være tilgængelig under infusionen.

## Hvorfor blev Elaprase godkendt?

CHMP konkluderede, at de ved undersøgelsen konstaterede forbedringer, også selv om de var begrænsede, havde klinisk virkning ved behandling af Hunters syndrom. Udvalget besluttede, at fordelene ved Elaprase opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af en markedsføringstilladelse for Elaprase.

Elaprase er godkendt under "særlige omstændigheder". Det betyder, at det ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Elaprase, fordi Hunters syndrom er sjældent. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

## Hvilke oplysninger afventes der stadig for Elaprase?

Virksomheden, som fremstiller Elaprase, skal undersøge lægemidlets virkning på lang sigt, særlig på lungerne, hjertet og blodkarrene, og hvorvidt det stimulerer kroppen til at danne antistoffer, som kan have indflydelse på lægemidlets sikkerhed og effekt.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Elaprase?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Elaprase.

## Andre oplysninger om Elaprase

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Elaprase den 8. januar 2007.

Den fuldstændige EPAR for Elaprase findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Elaprase, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Elaprase findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 09-2016.