



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

---

# Elaprase

## Idursulfase

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Elaprase. Hierin wird erläutert, wie der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) das Arzneimittel beurteilt hat, um zu seinem befürwortenden Gutachten zur Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen und seinen Empfehlungen zu den Anwendungsbedingungen für Elaprase zu gelangen.

### Was ist Elaprase?

Elaprase ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Idursulfase enthält. Es ist als Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung (Tropfinfusion) in eine Vene erhältlich.

### Wofür wird Elaprase angewendet?

Elaprase wird zur Behandlung von Patienten mit Hunter-Syndrom angewendet. Es ist für eine Langzeitanwendung ausgelegt.

Hunter-Syndrom, auch bekannt unter der Bezeichnung Mukopolysaccharidose II, ist eine seltene Erbkrankheit, die in erster Linie männliche Patienten betrifft. Patienten mit Hunter-Syndrom produzieren nicht das Enzym Iduronat-2-Sulfatase. Dieses Enzym ist im Körper zum Abbau von Substanzen, den sogenannten Glykosaminoglykanen (GAG), notwendig. Da Patienten mit Hunter-Syndrom diese Substanzen nicht abbauen können, sammeln sich die GAG in den meisten Organen im Körper an und schädigen diese. Dadurch kommt es zu einer Reihe von Symptomen, insbesondere Atemnot und Gehprobleme. Ohne Behandlung verschlimmern sich diese Symptome mit der Zeit.

Da es nur wenige Patienten mit Hunter-Syndrom gibt, gilt die Krankheit als selten, und Elaprase wurde am 11. Dezember 2001 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.

---

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



## Wie wird Elaprase angewendet?

Die Behandlung mit Elaprase sollte von einem Arzt oder einer anderen medizinischen Fachkraft überwacht werden, der bzw. die Erfahrung in der Behandlung von Patienten mit dem Hunter-Syndrom oder anderen erblichen Stoffwechselkrankheiten hat.

Elaprase wird wöchentlich als Infusion in eine Vene in einer Dosis von 0,5 mg pro Kilogramm Körpergewicht verabreicht. Die Infusion sollte drei Stunden dauern. Wenn der Patient jedoch keine Infusionsreaktionen (Ausschlag, Juckreiz, Fieber, Kopfschmerzen, erhöhter Blutdruck oder Rötung) zeigt, kann die Infusionsdauer schrittweise auf eine Stunde herabgesetzt werden.

Bei Patienten, die die Infusionen über mehrere Monate in einer Klinik gut vertragen, kann damit begonnen werden, sie ihnen zu Hause zu verabreichen. In diesem Fall müssen die Infusionen unter Aufsicht eines Arztes oder einer Pflegekraft durchgeführt werden.

## Wie wirkt Elaprase?

Der Wirkstoff in Elaprase, Idursulfase, ist eine Kopie des menschlichen Enzyms Iduronat-2-Sulfatase. Der Wirkstoff ersetzt das bei Patienten mit Hunter-Syndrom fehlende oder in unzureichendem Maße vorhandene Enzym. Durch Gabe des Enzyms können GAG abgebaut und ihre Anreicherung im Körper unterbunden werden, sodass die Krankheitssymptome gemildert werden können.

## Wie wurde Elaprase untersucht?

In der Hauptstudie mit Elaprase, an der 96 männliche Patienten im Alter zwischen fünf und 31 Jahren teilnahmen, wurde das Arzneimittel mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Die Hauptindikatoren für die Wirksamkeit waren die Lungenfunktion („forcierte Vitalkapazität“, d. h. die Höchstmenge an Luft, die ein Patient ausatmen kann) und die Entfernung, die die Patienten in sechs Minuten gehen konnten, bei der die kombinierten Wirkungen der Krankheit auf das Herz, die Lunge, die Gelenke und andere Organe gemessen wurden. Diese Indikatoren wurden zu Beginn der Studie und nach einem Jahr Behandlung gemessen.

## Welchen Nutzen hat Elaprase in diesen Studien gezeigt?

Elaprase verbesserte die Lungenfunktion und die Gehfähigkeit der Patienten. Zu Beginn der Studie konnten die Patienten durchschnittlich etwa 395 Meter in sechs Minuten gehen. Nach einem Jahr konnten die Patienten unter Elaprase durchschnittlich weitere 43 Meter gehen, während die Patienten unter Placebo weitere 8 Meter zurücklegen konnten. Das Arzneimittel bewirkte ferner eine Verbesserung der Lungenfunktion, während die Patienten unter Placebo eine leichte Verschlechterung zeigten.

## Welches Risiko ist mit Elaprase verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Elaprase stehen im Zusammenhang mit der Infusion, einschließlich Hautreaktionen (Ausschlag oder Juckreiz), Fieber, Kopfschmerzen, erhöhter Blutdruck und Hitzegefühl. Andere Nebenwirkungen (beobachtet bei mehr als 1 von 10 Patienten) sind pfeifender Atem, Dyspnoe (Atembeschwerden), Bauchschmerzen (Magenschmerzen), Nausea (Übelkeit), Dyspepsie (Sodbrennen), Diarrhö (Durchfall), Erbrechen, Schwellungen an der Infusionsstelle und Brustschmerzen. Bei einigen Patienten, die mit Elaprase behandelt wurden, wurden schwere allergische Reaktionen beobachtet. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Elaprase berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Elaprase darf nicht bei Patienten angewendet werden, bei denen bereits schwere oder lebensbedrohende Überempfindlichkeitsreaktionen (anaphylaktische Reaktionen) auf Idursulfase oder einen der sonstigen Bestandteile aufgetreten sind, wenn die Allergie nicht kontrollierbar ist. Wenn Elaprase Patienten gegeben wird, bei denen bereits schwere allergische Reaktionen aufgetreten sind, sollte es mit Vorsicht angewendet werden und während der Infusion geschultes Personal sowie Ausrüstung zur Wiederbelebung zur Verfügung stehen.

## **Warum wurde Elaprase zugelassen?**

Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass die in der Studie aufgezeigten Verbesserungen, auch wenn sie nur begrenzt waren, einen klinischen Nutzen bei der Behandlung des Hunter-Syndroms darstellen. Der CHMP entschied, dass der Nutzen von Elaprase gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Elaprase wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit des Hunter-Syndroms bisher nicht möglich war, umfassende Informationen über Elaprase zu erlangen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Zusammenfassung wird gegebenenfalls aktualisiert.

## **Welche Informationen werden für Elaprase noch erwartet?**

Der Hersteller von Elaprase wird die Langzeitwirkungen des Arzneimittels, insbesondere auf die Lunge, das Herz und die Blutgefäße, untersuchen und ob der Körper Antikörper bildet, die die Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels beeinflussen könnten.

## **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Elaprase ergriffen?**

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Elaprase, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

## **Weitere Informationen über Elaprase**

Am 8. Januar 2007 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Elaprase in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Elaprase finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Elaprase benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Elaprase finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 09-2016 aktualisiert.