



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Elaprase

ιδουρσουλφάση

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

Τι είναι το Elaprase;

Το Elaprase είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία ιδουρσουλφάση. Διατίθεται υπό μορφή πυκνού διαλύματος για την παρασκευή διαλύματος προς έγχυση (ενστάλαξη) σε φλέβα.

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Elaprase;

Το Elaprase χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών με σύνδρομο Hunter και προορίζεται για μακροχρόνια χρήση.

Το σύνδρομο Hunter, επίσης γνωστό ως βλεννοπολυσακχαρίδωση τύπου II είναι μια σπάνια κληρονομική ασθένεια που προσβάλλει κυρίως άνδρες ασθενείς. Οι ασθενείς με σύνδρομο Hunter δεν παράγουν ένα ένζυμο που ονομάζεται 2-σουλφατάση ιδουρονικού. Το ένζυμο αυτό είναι απαραίτητο για τη διάσπαση ουσιών που υπάρχουν στον οργανισμό και ονομάζονται γλυκοζαμινογλυκάνες (GAG). Δεδομένου ότι στους ασθενείς με σύνδρομο Hunter οι γλυκοζαμινογλυκάνες δεν μπορούν να διασπαστούν, οι γλυκοζαμινογλυκάνες συσσωρεύονται προοδευτικά στα περισσότερα από τα όργανα του οργανισμού και τα καταστρέφουν. Το γεγονός αυτό προκαλεί ένα ευρύ φάσμα συμπτωμάτων, ιδίως αναπνευστικές δυσκολίες και δυσκολίες στο βάδισμα. Χωρίς θεραπευτική αγωγή, τα συμπτώματα αυτά επιδεινώνονται με τον χρόνο.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με σύνδρομο Hunter και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Elaprase χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 11 Δεκεμβρίου 2001.



Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πώς χρησιμοποιείται το Elaprase;

Η αγωγή με Elaprase πρέπει να γίνεται υπό την επίβλεψη γιατρού ή άλλου επαγγελματία του τομέα της υγείας με πείρα στη θεραπεία ασθενών με σύνδρομο Hunter ή άλλες κληρονομικές παθήσεις που επηρεάζουν τον μεταβολισμό.

Το Elaprase χορηγείται κάθε εβδομάδα με έγχυση εντός της φλέβας, σε δόση των 0,5 mg ανά κιλό σωματικού βάρους. Η διάρκεια της έγχυσης είναι 3 ώρες. Ωστόσο, εφόσον δεν προκληθούν αντιδράσεις από την έγχυση (εξάνθημα, κνησμός, πυρετός, πονοκέφαλος, υψηλή αρτηριακή πίεση ή έξαψη), η διάρκεια της έγχυσης μπορεί σταδιακά να μειωθεί σε μία ώρα.

Οι ασθενείς, στους οποίους οι εγχύσεις γίνονται καλά ανεκτές σε κλινική επί αρκετούς μήνες, μπορούν να αρχίσουν να λαμβάνουν τις εγχύσεις κατ' οίκον, οι οποίες πρέπει να χορηγούνται υπό την επίβλεψη γιατρού ή νοσηλεύτη.

Πώς δρα το Elaprase;

Η δραστική ουσία του Elaprase, η ιδουρσουλφάση, είναι αντίγραφο του ανθρώπινου ενζύμου 2-σουλφάση ιδουρονικού. Αντικαθιστά το ένζυμο που λείπει ή είναι ελαττωματικό στους ασθενείς που πάσχουν από το σύνδρομο Hunter. Παρέχοντάς τους το συγκεκριμένο ένζυμο, το Elaprase βοηθάει στη διάσπαση των GAG και σταματάει τη συσσώρευσή τους στον ιστό του σώματος. Κατ' αυτόν τον τρόπο τα συμπτώματα της ασθένειας βελτιώνονται.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Elaprase;

Στη βασική μελέτη για το φάρμακο συμμετείχαν 96 άντρες ασθενείς ηλικίας μεταξύ 5 και 31 ετών και το Elaprase συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Οι βασικοί δείκτες μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η λειτουργία των πνευμόνων («εκπνεόμενη ζωτική χωρητικότητα», ο μέγιστος όγκος αέρα που μπορεί να εκπνεύσει ο ασθενής), καθώς και η απόσταση που μπόρεσαν να διανύσουν οι ασθενείς στη δοκιμασία βάρδισης 6 λεπτών, προκειμένου να μετρηθούν οι συνδυασμένες επιδράσεις της ασθένειας στην καρδιά, στους πνεύμονες, στις αρθρώσεις και σε άλλα όργανα. Οι μετρήσεις αυτές πραγματοποιήθηκαν κατά την έναρξη της μελέτης και μετά από ένα έτος αγωγής.

Ποιο είναι το όφελος του Elaprase σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Elaprase βελτίωσε τη λειτουργία των πνευμόνων και την ικανότητα βάρδισης των ασθενών. Στην αρχή της μελέτης, οι ασθενείς μπορούσαν να διανύσουν περίπου 395 μέτρα σε έξι λεπτά. Ύστερα από ένα έτος, οι ασθενείς στους οποίους χορηγήθηκε το Elaprase μπόρεσαν να διανύσουν περπατώντας επιπλέον 43 μέτρα κατά μέσο όρο, ενώ οι ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο μπόρεσαν να διανύσουν περπατώντας 8 επιπλέον μέτρα. Το φάρμακο βελτίωσε επίσης τη λειτουργία των πνευμόνων, ενώ οι ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο παρουσίασαν ελαφρά επιδείνωση.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Elaprase;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Elaprase συνδέονται με την έγχυση και συμπεριλαμβάνουν δερματικές αντιδράσεις (εξάνθημα ή κνησμός), πυρετό, πονοκέφαλο, υψηλή αρτηριακή πίεση και έξαψη. Άλλες ανεπιθύμητες ενέργειες που παρατηρήθηκαν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς είναι συριγμός, δύσπνοια (δυσκολία στην αναπνοή), κοιλιακός (στομαχικός) πόνος, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), δυσπεψία (στομαχικός καύσος), διάρροια, έμετος, οίδημα στο σημείο της έγχυσης και πόνος στο στήθος. Σε ορισμένους ασθενείς που έλαβαν Elaprase παρατηρήθηκαν σοβαρές αλλεργικές

αντιδράσεις. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Elaprase περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Elaprase δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που έχουν παρουσιάσει κατά το παρελθόν σοβαρή ή απειλητική για τη ζωή τους αλλεργική (αναφυλακτική) αντίδραση στην ιδουρσουλφάση ή σε οποιοδήποτε άλλο συστατικό του φαρμάκου, εάν η αλλεργία δεν μπορεί να ελεγχθεί. Το Elaprase πρέπει να χορηγείται με προσοχή στους ασθενείς που παρουσίασαν στο παρελθόν σοβαρή αλλεργική αντίδραση, ενώ κατά τη διάρκεια της έγχυσης πρέπει να υπάρχει έτοιμος εξοπλισμός και εκπαιδευμένο προσωπικό για την ανάνηψη των ασθενών σε περίπτωση έκτακτης ανάγκης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Elaprase;

Η CHMP κατέληξε στο συμπέρασμα ότι η βελτίωση που παρατηρήθηκε κατά τη διάρκεια της μελέτης, ακόμη και αν ήταν περιορισμένη, καταδεικνύει το κλινικό όφελος του φαρμάκου για τη θεραπεία του συνδρόμου Hunter. Η επιτροπή έκρινε ότι τα οφέλη του Elaprase υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

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

Ποια στοιχεία για το Elaprase αναμένεται να υποβληθούν;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Elaprase θα διερευνήσει τις μακροχρόνιες επιπτώσεις του φαρμάκου, κυρίως στους πνεύμονες, την καρδιά και τα αιμοφόρα αγγεία καθώς και το κατά πόσο ο οργανισμός παράγει αντισώματα που θα μπορούσαν να επηρεάσουν την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου.

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

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν 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 Elaprase.

Λοιπές πληροφορίες για το Elaprase

Στις 8 Ιανουαρίου 2007 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Elaprase.

Η πλήρης EPAR του Elaprase διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Elaprase, 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 Elaprase διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 09-2016.