



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Elaprase

idursulfaas

See on ravimi Elaprase Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiloa andmist; samuti esitatakse komitee soovitusel, kuidas ravimit kasutada.

Mis on Elaprase?

Elaprase on ravim, mis sisaldab toimeainena idursulfaasi. Seda turustatakse infusioonilahuse (veeni tilgutatava lahuse) kontsentraadina.

Milleks Elaprasest kasutatakse?

Elaprasest kasutatakse Hunteri sündroomiga patsientide raviks. Ravim on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks.

Hunteri sündroom ehk II tüüpi mukopolüsahharidoos on harvaesinev pärilik haigus, mis ilmneb eelkõige meessoost patsientidel. Hunteri sündroomiga patsiendi organism ei tooda ensüümi iduronaat-2-sulfataasi. See ensüüm on vajalik organismi teatud ainete, glükosaminoglükaanide lagundamiseks. Et Hunteri sündroomiga patsiendi organismis need ained ei lagune, ladestuvad glükosaminoglükaanid ajapikku enamikus elundeis ning kahjustavad neid. See põhjustab väga mitmesuguseid sümptomeid, eelkõige hingamisraskusi ja kõndimisraskusi. Kui neid sümptomeid ei ravita, muutuvad need aja jooksul üha raskemaks.

Et Hunteri sündroomiga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Elaprase 11. detsembril 2001 harvikravimiks.

Elaprase on retseptiravim.



Kuidas Elaprasert kasutatakse?

Ravi Elaprasega võib toimuda üksnes Hunteri sündroomi või muude ainevahetust mõjutavate pärilike haiguste ravis kogenud arsti või tervishoiutöötaja järelevalve all.

Elaprasert infundeeritakse igal nädalal veeni annuses 0,5 mg kehamassi kg kohta. Infusioon peab kestma kolm tundi. Kui patsiendil ei teki infusioonireaktsioone (lööve, sügelus, palavik, peavalu, kõrge vererõhk või õhetus), võib infusiooni kestust järk-järgult vähendada ühe tunnini.

Patsientidel, kes taluvad haiglas infusiooni mitme kuu kestel hästi, võib alustada infundeerimisega kodus. Kodus infundeerimine peab toimuma arsti või meditsiiniõe järelevalve all.

Kuidas Elapraser toimib?

Elapraser toimeaine idursulfaas on inimesüümi iduronaat-2-sulfataasi koopia. See asendab Hunteri sündroomiga patsiendi organismis puuduvat või defektset ensüümi. Ensüüm aitab lagundada glükosaminoglükaane ja peatab nende ladestumise organismi kudedes ning aitab sel viisil vähendada haiguse sümptomeid.

Kuidas Elaprasert uuriti?

Elapraser põhiuuringus osales 96 meessoost patsienti vanuses 5–31 eluaastat; uuringus võrreldi Elaprasert platseeboga (näiva ravimiga). Efektiivsuse põhinäitajad olid kopsutalitlus (forsseeritud vitaalkapatsiteet: suurim õhumaht, mille patsient suudab pärast suurimat sissehingamist jõuliselt välja hingata) ja teepikkus, mille patsient suudab läbida kuue minuti jooksul; need näitajad mõõdavad haiguse üldmõju südamele, kopsudele, liigestele ja muudele elunditele. Põhinäitajaid mõõdeti uuringu alguses ja pärast üheaastast ravi.

Milles seisneb uuringute põhjal Elapraser kasulikkus?

Elapraser parandas nii patsiendi kopsutalitlust kui ka kõndimissuutlikkust. Uuringu algul suutsid patsiendid kuue minuti jooksul kõndida ligikaudu 395 m. Ühe aasta möödudes suurenes patsientide kõndimiskaugus Elapraser uuringurühmas keskmiselt 43 m võrra ja platseeborühmas 8 m võrra. Samuti parandas ravim kopsutalitlust, samal ajal kui platseebot saanud patsientidel see veidi halvenes.

Mis riskid Elapraseriga kaasnevad?

Elapraser kõige sagedamad kõrvalnähud on seotud infusiooniga, sh nahareaktsioonid (lööve või sügelus), palavik, peavalu, kõrge vererõhk ja õhetus. Muud kõrvalnähud (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) on vilisev hingamine, düspnoe (õhupuudustunne), kõhuvalu, iiveldus, düspepsia (kõrvetised), kõhulahtisus, oksendamine, infusioonikoha turse ja rindkerevalu. Mõnel Elaprasert võtnud patsiendil on esinenud raskeid allergiareaktsioone. Elapraser kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Elaprasert ei tohi kasutada patsiendid, kellel on olnud idursulfaasi või selle ravimi mis tahes muu koostisaine suhtes raske või eluohtlik (anafülaktiline) allergiareaktsioon või kui allergia ei ole ohjatu. Patsientidele, kellel on olnud raskeid allergiareaktsioone, tuleb Elaprasert manustada ettevaatlikult ja infusiooni vältel on vajalik kogenud personali ja elustamisvahendite kättesaadavus.

Miks Elaprased heaks kiideti?

Inimravimite komitee järeldas, et uuringus osutatud patsiendiseisundi paranemine on vaatamata piiratud ulatusele Hunteri sündroomi ravis siiski kliiniliselt kasulik. Komitee otsustas, et Elaprased kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ning soovitas anda ravimi müügiloa.

Elaprased müügiluba anti erandkorras. See tähendab, et kuna haigus on haruldane, ei ole olnud võimalik Elaprased kohta saada täielikku teavet. Euroopa Raviamet vaatab kogu võimaliku uue teabe igal aastal läbi ja vajaduse korral uuendab käesolevat kokkuvõtet.

Mis teavet Elaprased kohta veel oodatakse?

Elaprased turustav ettevõtte uurib ravimi pikaajalist mõju eelkõige kopsudele, südamele ja veresoonkonnale, samuti kas organism tekitab antikehi, mis võivad mõjutada ravimi ohutust ja efektiivsust.

Mis meetmed võetakse, et tagada Elaprased ohutu ja efektiivne kasutamine?

Elaprased ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Muu teave Elaprased kohta

Euroopa Komisjon andis Elaprased müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 8. jaanuaril 2007.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Elaprased kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate Elaprasedega toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Elaprased kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 09-2016.