



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Elaprased

idursulfaasi

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Elaprased-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt puoltavaan lausuntoon myyntiluvan myöntämisestä sekä suositukseen Elaprasen käytön ehdoista.

Mitä Elaprased on?

Elaprased on lääke, jonka vaikuttava aine on idursulfaasi. Sitä saa konsentraattina, josta valmistetaan liuos infuusiota (suonensisäistä tiputusta) varten.

Mihin Elaprasedea käytetään?

Elaprasedea käytetään potilailla, joilla on Hunterin oireyhtymä. Valmiste on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

Hunterin oireyhtymä, josta käytetään myös nimitystä mukopolysakkaridoosi II, on harvinainen perinnöllinen sairaus, jota esiintyy lähinnä miespuolisilla potilailla. Hunterin oireyhtymää sairastavien elimistö ei tuota iduronaatti-2-sulfataasi-nimistä entsyymiä. Tätä entsyymiä tarvitaan hajottamaan elimistössä glykosaminoglykaaneja (GAG). Koska Hunterin oireyhtymää sairastavien elimistö ei pysty hajottamaan näitä aineita, glykosaminoglykaanit kertyvät vähitellen useimpiin elimiin ja vaurioittavat niitä. Tämä aiheuttaa monenlaisia oireita, varsinkin hengitys- ja kävelyvaikeuksia. Ilman hoitoa näistä oireista tulee ajan myötä vakavampia.

Koska Hunterin oireyhtymää sairastavia potilaita on vähän, tauti katsotaan harvinaiseksi, ja Elaprased nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 11. joulukuuta 2001.

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä.



Miten Elapraseda käytetään?

Elapraseda-hoito on annettava sellaisen lääkärin tai muun terveydenhuollon ammattilaisen valvonnassa, jolla on kokemusta Hunterin oireyhtymää tai muita perinnöllisiä aineenvaihduntasairauksia sairastavien potilaiden hoidosta.

Elapraseda annetaan joka viikko infuusiona laskimoon; annos on 0,5 mg painokiloa kohti. Infuusion tulee kestää kolme tuntia. Infuusion kestoa voidaan kuitenkin vähitellen lyhentää yhteen tuntiin, ellei potilaalle tule infuusiosta johtuvia reaktioita (ihottuma, kutina, kuume, päänsärky, korkea verenpaine tai lehdusoireita).

Potilaille, jotka sietävät infuusioita hyvin usean kuukauden ajan sairaalassa, voidaan alkaa antaa niitä kotona. Lääkärin tai sairaanhoitajan on valvottava kotona annettavia infuusioita.

Miten Elapraseda vaikuttaa?

Elaprasen vaikuttava aine idursulfaasi on ihmisen iduronaatti-2-sulfataasientsyymin kopio. Se korvaa puuttuvan tai viallisen entsyymin ihmisillä, joilla on Hunterin oireyhtymä. Entsyymin antaminen auttaa hajottamaan glykosaminoglykaaneja ja pysäyttää niiden kertymisen kehon kudoksiin. Näin se auttaa parantamaan taudin oireita.

Miten Elapraseda on tutkittu?

Elapraseda koskeva päätutkimus tehtiin 96 miespuolisella potilaalla, joiden ikä oli 5–31 vuotta, ja siinä Elapraseda verrattiin lumelääkkeeseen. Tehon pääasiallisena mittana olivat keuhkojen toiminta (vitaalikapasiteetti, sen ilman enimmäismäärä, jonka potilas pystyy hengittämään ulos) ja matka, jonka potilas pystyi kävelemään kuudessa minuutissa. Tämä mittaa sairauden vaikutusta yhteensä sydämeen, keuhkoihin, niveliin ja muihin elimiin. Mittaukset tehtiin tutkimuksen alussa ja vuoden kestäneen hoidon jälkeen.

Mitä hyötyä Elaprasesta on havaittu tutkimuksissa?

Elapraseda paransi potilaiden keuhkojen toimintaa ja kävelykykyä. Tutkimuksen alussa potilaat pystyivät kävelemään keskimäärin noin 395 metriä kuudessa minuutissa. Vuoden kuluttua Elapraseda saaneet potilaat pystyivät kävelemään keskimäärin 43 metriä pitemmän matkan; lumelääkettä saaneet pystyivät kävelemään 8 metriä pitempään kuin ennen. Lääke sai myös aikaan parannusta keuhkojen toiminnassa, kun taas lumelääkettä saaneilla se hieman huononi.

Mitä riskejä Elapraseseen liittyy?

Elaprasen yleisimmät sivuvaikutukset liittyvät infuusion, mukaan lukien ihoreaktiot (ihottuma tai kutina), kuume, päänsärky, korkea verenpaine ja lehdusoireet. Muita sivuvaikutuksia, joita on havaittu useammalla kuin 1 potilaalla 10:stä, ovat hengityksen vinkuna, hengitysvaikeudet, vatsakipu, pahoinvointi, närästys, ripuli, oksentelu, turvotus infuusiokohdassa ja rintakipu. Joillakin Elapraseda saaneilla potilailla on esiintynyt vakavia allergisia reaktioita. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Elaprasen ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Elapraseda ei saa antaa potilaille, jotka ovat saaneet vakavan tai hengenvaarallisen allergisen reaktion idursulfaasiin tai johonkin muuhun valmisteen ainesosaan, ellei heidän allergiansa ole hallittavissa. Jos Elapraseda annetaan potilaille, joilla on aiemmin ollut vakavia allergisia reaktioita, sitä on käytettävä varoen, ja infuusion aikana on oltava käytettävissä koulutettua henkilöstöä ja elvytyslaitteet.

Miksi Elaprased on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea katsoi, että vaikka tutkimuksessa havaitut parannukset ovatkin vähäisiä, ne merkitsevät kliinistä hyötyä Hunterin oireyhtymän hoidossa. Komitea katsoi Elaprasen hyödyn ylittävän sen riskit ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Elaprased on hyväksytty ns. poikkeusolosuhteissa. Se tarkoittaa sitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Elaprasesta ei ole voitu saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto arvioi vuosittain uudet tiedot ja päivittää tarvittaessa tämän yhteenvedon.

Mitä tietoja Elaprasesta odotetaan vielä saatavan?

Elapraseda markkinoiva yhtiö aikoo tutkia valmisteen pitkäaikaisia vaikutuksia, etenkin keuhkoihin, sydämeen ja verisuoniin, ja sitä, tuottaako elimistö vasta-aineita, jotka voisivat vaikuttaa lääkkeen turvallisuuteen ja tehoon.

Miten voidaan varmistaa Elaprasen turvallinen ja tehokas käyttö?

Elaprasen turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettavaksi.

Muuta tietoa Elaprasesta

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Elapraseda varten 8. tammikuuta 2007.

Elapraseda koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lisätietoja Elaprased-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Elaprased-valmistetta koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 09-2016.