



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Elaprased

idursulfaza

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) za lijek Elaprased. Objašnjava kako je Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) ocijenio lijek da bi donio svoje mišljenje u korist izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet te preporuke o uvjetima za primjenu lijeka Elaprased.

Što je Elaprased?

Elaprased je lijek koji sadrži djelatnu tvar idursulfazu. Dostupan je kao koncentrat od kojeg se priprema otopina za intravensku infuziju (drip).

Za što se Elaprased koristi?

Elaprased se koristi za liječenje bolesnika s Hunterovim sindromom. Namijenjen je za dugotrajnu primjenu.

Hunterov sindrom, koji je poznat i pod nazivom mukopolisaharidoza II, rijetka je nasljedna bolest od koje prvenstveno oboljevaju muškarci. Bolesnici s Hunterovim sindromom ne proizvode enzim iduronat-2-sulfatazu. Taj je enzim potreban za razgradnju tvari u tijelu naziva glikosaminoglikani (GAG). Budući da osobe oboljele od Hunterova sindroma ne mogu razgraditi te tvari, one se postupno nagomilavaju u većini tjelesnih organa i oštećuju ih. To uzrokuje različite simptome, a napose otežano disanje i otežano hodaenje. Ako se ne liječe, ti se simptomi s vremenom pogoršavaju.

Budući da je broj bolesnika s Hunterovim sindromom nizak, dotična se bolest smatra „rijetkom“ te se Elaprased označava kao lijek za liječenje rijetkih bolesti od 11. prosinca 2001.

Lijek se izdaje samo na 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

An agency of the European Union



Kako se Elaprased koristi?

Liječenje lijekom Elaprased mora nadzirati liječnik ili drugi zdravstveni radnik s iskustvom u liječenju bolesnika oboljelih od Hunterova sindroma ili drugih nasljednih metaboličkih bolesti.

Elaprased se primjenjuje svaki tjedan kao intravenska infuzija u dozi od 0,5 mg po kilogramu tjelesne težine. Infuzija mora trajati tri sata. Međutim, ako bolesnik nema reakcije na infuziju (osip, svrbež, groznicu, glavobolju, visoki krvni tlak ili crvenilo), trajanje infuzije može se postupno skratiti na jedan sat.

Bolesnici koji dobro podnose infuzije tijekom nekoliko mjeseci u klinici, mogu ih početi dobivati kod kuće. Infuzije kod kuće treba nadzirati liječnik ili medicinska sestra.

Kako djeluje Elaprased?

Djelatna tvar u lijeku Elaprased, idursulfaza, kopija je humanog enzima iduronat-2-sulfataze. Ona zamjenjuje enzim koji u bolesnika s Hunterovim sindromom nedostaje ili je oštećen. Isporučka enzima pomoći će pri razgradnji GAG-ova i zaustaviti njihovo nakupljanje u tjelesnim tkivima, čime se ublažavaju simptomi bolesti.

Kako je lijek Elaprased ispitivan?

Glavnim ispitivanjem lijeka Elaprased bilo je obuhvaćeno 96 bolesnih muškaraca u dobi od pet do 31 godine, a lijek je uspoređen s placebom (prividnim liječenjem). Glavne mjere djelotvornosti bile su funkcija pluća („forsirani vitalni kapacitet“, tj. maksimalna količina zraka koju bolesnik može izdahnuti) i udaljenost koju je bolesnik mogao prehodati u šest minuta, čime se mjere kombinirani učinci bolesti na srce, pluća, zglobove i ostale organe. Vrijednosti su izmjerene na početku ispitivanja i nakon godinu dana terapije.

Koje su koristi lijeka Elaprased utvrđene u ispitivanjima?

Primjenom lijeka Elaprased poboljšala se funkcija pluća i sposobnost hodanja bolesnika. Na početku ispitivanja bolesnici su prosječno mogli prehodati oko 395 metara u šest minuta. Nakon godinu dana bolesnici koji su primali lijek Elaprased mogli su prosječno prehodati 43 metra više, dok su pacijenti koji su primali placebo hodali 8 metara više. Liječkom je također poboljšana funkcija pluća, a u bolesnika koji su primali placebo zabilježeno je blago pogoršanje.

Koji su rizici povezani s lijekom Elaprased?

Najčešće nuspojave lijeka Elaprased povezane su s infuzijom, a obuhvaćaju kožne reakcije (osip ili svrbež), groznicu, glavobolju, visoki krvni tlak i crvenilo. Ostale nuspojave zabilježene u više od 1 na 10 osoba jesu piskanje, dispneja (otežano disanje), abdominalna bol (bol u trbuhu), mučnina (slabost), dispepsija (žgaravica), proljev, povraćanje, oticanje na mjestu infuzije i bol u prsima. U nekih bolesnika koji su primali lijek Elaprased pojavile su se teške alergijske reakcije. Potpuni popis svih nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Elaprased potražite u uputi o lijeku.

Elaprased se ne smije primjenjivati u bolesnika koji su u prošlosti imali teške ili po život opasne alergijske (anafilaktičke) reakcije na idursulfazu ili bilo koji drugi sastojak ako njihovu alergiju nije moguće kontrolirati. Ako se lijek Elaprased daje bolesnicima koji su u prošlosti imali teške alergijske reakcije, treba ga davati oprezno, a tijekom infuzije mora biti dostupno stručno medicinsko osoblje i oprema za oživljavanje.

Zašto je lijek Elaprasedobren?

CHMP je zaključio da poboljšanja koja su dokazana tijekom ispitivanja, iako ograničena, predstavljaju kliničku korist u liječenju Hunterova sindroma. Odbor je odlučio da koristi od lijeka Elaprased nadmašuju s njime povezane rizike te je preporučio izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Lijek Elaprasedobren je u „iznimnim okolnostima“. To znači da zbog činjenice da je Hunterov sindrom rijetka bolest nije bilo moguće dobiti potpune informacije o lijeku Elaprased. Europska agencija za lijekove svake godine pregledava sve nove dostupne informacije te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koje se još informacijeečekuju o lijeku Elaprased?

Tvrtka koja lijek Elaprased stavlja u promet istražiti će dugoročne učinke lijeka, napose na pluća, srce i krvne žile, te proizvodi li tijelo protutijela koja bi mogla utjecati na sigurnu i učinkovitu primjenu lijeka.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Elaprased?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Elaprased nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Ostale informacijee o lijeku Elaprased

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje je za lijek Elaprased na snazi u Europskoj uniji od 8. siječnja 2007.

Cjeloviti EPAR za lijek Elaprased nalazi se na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Više informacija o terapiji lijekom Elaprased pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti o lijeku Elaprased možete naći na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Sažetak je posljednji put ažuriran u 09.2016.