



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Elaprase

idurszulfáz

Ez a dokumentum az Elaprase-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az Elaprase alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer az Elaprase?

Az Elaprase egy idurszulfáz nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Vénába adandó oldatos infúzió készítésére szolgáló koncentrátum formájában kapható.

Milyen betegségek esetén alkalmazható az Elaprase?

Az Elaprase-t Hunter-kórban szenvedő betegek kezelésére alkalmazzák. A gyógyszert hosszú távú alkalmazásra fejlesztették ki.

A mukopoliszacharidózis II néven is ismert Hunter-kór egy ritka, örökletes betegség, amely elsősorban a férfiaknál jelentkezik. A Hunter-kórban szenvedő betegek szervezetében nem termelődik az iduronát-2-szulfatáz nevű enzim. Ez az enzim a szervezetben lévő, glikózaminoglikánoknak (GAG) nevezett anyagok lebontásához szükséges. Mivel a Hunter-kórban szenvedő betegek nem képesek ezeket az anyagokat lebontani, a GAG-ok fokozatosan felhalmozódnak a test legtöbb szervében és károsítják azokat. Ez számos tünetet eredményez, különösen légzési és járási nehézségeket. Ezek a tünetek kezelés nélkül idővel súlyosbodnak.

Mivel a Hunter-kórban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért az Elaprase-t 2001. december 11-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A gyógyszer csak receptre kapható.



Hogyan kell alkalmazni az Elapraxe-t?

Az Elapraxe-kezelést a Hunter-kór vagy más, az anyagcserét érintő örökletes betegség kezelésében tapasztalt orvosnak vagy egészségügyi szakembernek kell felügyelnie.

Az Elapraxe-t hetente, infúzióban, 0,5 mg/testtömeg-kilogramm adagban kell vénába beadni. Az infúzió beadásának időtartama három óra. Azonban ameddig a betegnél nem jelentkeznek az infúzióval összefüggő reakciók (kiütés, viszketés, láz, fejfájás, magas vérnyomás vagy bőrpír), az infúzió beadási idejét fokozatosan 1 órára lehet csökkenteni.

Azoknál a betegeknél, akik kórházban több hónapig jól tolerálják az infúziót, fennáll a lehetőség az otthoni kezelésre. Az otthoni infúziókat orvos vagy ápoló felügyelete mellett kell beadni.

Hogyan fejt ki hatását az Elapraxe?

Az Elapraxe hatóanyaga, az idurszulfáz, az iduronát-2-szulfatáz humán enzim másolata. A hatóanyag a Hunter-kórban szenvedő betegeknél hiányzó, vagy elégtelen működésű enzimet pótolja. Az enzim pótlásának eredményeként a GAG-ok lebomlanak, nem halmozódnak fel a szervezet szöveteiben, így a betegség tünetei javulnak.

Milyen módszerekkel vizsgálták az Elapraxe-t?

A 96, 5 és 31 év közötti férfi beteg bevonásával végzett fő vizsgálatban az Elapraxe-t placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze. A hatásosság fő mértéke a légzésfunkció volt („erőltetett vitálkapacitás”, az a maximális levegőmennyiség, amelyet a beteg ki tud lélegezni), valamint az a távolság, amelyet a beteg hat perc alatt sétálva meg tud tenni, ami a betegségnek a szívre, a tüdőre, az ízületekre és az egyéb szervekre kifejtett összesített hatását méri. Ezeket a méréseket a kezelés kezdetén és egy év kezelés után végezték el.

Milyen előnyei voltak az Elapraxe alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Elapraxe a betegek légzésfunkcióját és járási képességét egyaránt javította. A kezelés megkezdésekor a betegek hat perc alatt átlagosan 395 métert tudtak megtenni. Egy év elteltével az Elapraxe-t kapó betegek átlagosan további 43 métert tudtak megtenni, míg a placebót kapó betegeknél ez a távolság 8 méter volt. A gyógyszer a légzésfunkció tekintetében is javulást eredményezett, míg a placebót kapó betegeknél enyhe visszaesés volt tapasztalható.

Milyen kockázatokkal jár az Elapraxe alkalmazása?

Az Elapraxe leggyakoribb mellékhatásai az infúzióval kapcsolatosak, ideértve a bőrreakciókat (kiütés vagy viszketés) a lázat, a fejfájást, a magas vérnyomást és a bőrpírt. 10 beteg közül több mint 1-nél jelentkező további mellékhatások a zihálás, nehézlégzés, gyomorfájdalom, hányinger, gyomorégés, hasmenés, hányás, az infúzió beadásának helyén keletkező duzzanat és mellkasi fájdalom. Egyes, Elapraxe-zal kezelt betegeknél súlyos allergiás reakciók jelentkeztek. Az Elapraxe alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Elapraxe nem alkalmazható olyan személyeknél, akiknél korábban súlyos vagy életveszélyes túlérzékenységi (anafilaxiás) reakció lépett fel az idurszulfázzal vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben, ha allergiájuk nem kontrollálható. Olyan betegek esetében, akiknél korábban súlyos allergiás reakció lépett fel, az Elapraxe-t körültekintéssel kell alkalmazni, és az infúzió beadásának idején szakképzett személyzetnek és az újraélesztéshez szükséges berendezéseknek kell elérhetőnek lenni.

Miért engedélyezték az Elaprased forgalomba hozatalát?

A CHMP arra a következtetésre jutott, hogy a vizsgálat által kimutatott javulás – még ha korlátozott mértékű is – klinikai előnyt jelent a Hunter-kór kezelésében. A bizottság megállapította, hogy az Elaprased alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Az Elaprased forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a Hunter-kór alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni az Elaprased-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

Milyen információk várhatók még az Elaprased-zal kapcsolatban?

Az Elaprased-t forgalmazó vállalat vizsgálni fogja a gyógyszer hosszú távú hatásosságát, különösen a tüdőre, szívre és vérerekre vonatkozóan, valamint hogy a szervezet termel-e antitesteket, amelyek befolyásolhatják a gyógyszer hatásosságát és biztonságosságát.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Elaprased biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Elaprased biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Elaprased-zal kapcsolatos egyéb információ

2007. január 8-án az Európai Bizottság az Elaprased-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

Az Elaprased-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben az Elaprased-zal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Elaprased-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 09-2016.