



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Riassunto destinato al pubblico

Elaprase

idursulfasi

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Elaprase. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Elaprase.

Che cos'è Elaprase?

Elaprase è un medicinale contenente il principio attivo idursulfasi. È disponibile come concentrato per la preparazione di una soluzione per infusione (iniezione goccia a goccia) in vena.

Per che cosa si usa Elaprase?

Elaprase è indicato per il trattamento di pazienti affetti da sindrome di Hunter. È un medicinale per terapie a lungo termine.

La sindrome di Hunter, nota anche come mucopolisaccaridosi II, è una malattia ereditaria rara, che condiziona soprattutto i pazienti di sesso maschile. I pazienti affetti da sindrome di Hunter non producono un enzima denominato iduronato-2-solfatasi. Questo enzima è necessario per scomporre nel corpo sostanze denominate glicosaminoglicani (GAG). Poiché i pazienti affetti dalla sindrome di Hunter non possono scomporre queste sostanze, i GAG si formano gradualmente nella maggior parte degli organi del corpo umano e li danneggiano. Ciò causa una vasta gamma di sintomi, in particolare difficoltà di respirazione e motorie. Senza una cura, questi sintomi diventano più gravi col passare del tempo.

Poiché il numero di pazienti affetti dalla sindrome di Hunter è basso, la malattia è considerata "rara" ed Elaprase è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'11 dicembre 2001.

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



Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa Elaprase?

La terapia con Elaprase deve essere supervisionata da un medico esperto nella gestione di pazienti con sindrome di Hunter o altre malattie metaboliche ereditarie.

Elaprase è somministrato ogni settimana, sotto forma d'infusione in vena, a una dose di 0,5 mg per chilogrammo di peso corporeo. L'infusione dovrebbe durare tre ore. La durata dell'infusione può essere tuttavia ridotta a un'ora a condizione che il paziente non sviluppi reazioni all'infusione (eruzione cutanea, prurito, febbre, mal di testa, elevata pressione del sangue o rossore).

I pazienti che tollerano bene le infusioni per svariati mesi in una clinica possono iniziare ad assumerle a domicilio. Le infusioni a domicilio devono essere supervisionate da un medico o un infermiere.

Come agisce Elaprase?

Il principio attivo di Elaprase, idursulfasi, è una copia dell'enzima umano iduronato-2-sulfatasi. Sostituisce l'enzima assente o difettoso in pazienti affetti dalla sindrome di Hunter. La fornitura dell'enzima aiuterà a scomporre i GAG e a interrompere la loro costituzione nei tessuti corporei, aiutandoli a migliorare i sintomi della malattia.

Quali studi sono stati effettuati su Elaprase?

Lo studio principale di Elaprase ha coinvolto 96 pazienti uomini di età compresa tra 5 e 31 anni, e l'ha confrontato con il placebo (un trattamento fittizio). Le principali misure dell'efficacia sono state la funzionalità respiratoria ("capacità vitale forzata", la massima quantità di aria che il paziente può espirare) e la distanza che i pazienti potevano percorrere in 6 minuti, che misura gli effetti combinati della malattia del cuore, dei polmoni, delle articolazioni e di altri organi. Queste misure sono state prese all'inizio dello studio e dopo un anno di trattamento.

Quali benefici ha mostrato Elaprase nel corso degli studi?

Elaprase ha migliorato la funzione respiratoria e le capacità motorie dei pazienti. All'inizio dello studio, i pazienti potevano percorrere mediamente 395 metri in sei minuti. Dopo un anno, i pazienti a cui veniva somministrato Elaprase potevano camminare ulteriormente per 43 metri in media, e i pazienti a cui veniva somministrato un placebo potevano camminare ulteriormente per 8 metri. Il medicinale ha anche prodotto un miglioramento nella funzione respiratoria, mentre i pazienti trattati con placebo hanno evidenziato un leggero peggioramento.

Qual è il rischio associato a Elaprase?

Gli effetti indesiderati più comuni di Elaprase sono associati all'infusione e comprendono reazioni cutanee (eruzione cutanea o prurito), febbre, mal di testa, elevata pressione sanguigna e rossore. Altri effetti indesiderati osservati in più di 1 paziente su 10 sono dispnea (difficoltà respiratorie), dolori addominali (mal di stomaco), nausea, dispepsia (bruciore di stomaco), diarrea, vomito, gonfiore in corrispondenza del sito dell'infusione e dolore al petto. Effetti indesiderati gravi sono stati osservati in alcuni pazienti che assumono Elaprase. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Elaprase, vedere il foglio illustrativo.

Elaprase non deve essere somministrato a soggetti che in passato hanno avuto una reazione d'ipersensibilità allergica (anafilattica) grave o potenzialmente letale a idursulfasi o a uno qualsiasi

degli altri ingredienti, nel caso in cui la loro allergia non sia controllabile. Nel caso in cui venga somministrato a pazienti che hanno avuto reazioni allergiche gravi in passato, Elaprase deve essere usato con attenzione, e durante l'infusione devono essere disponibili personale formato e attrezzature per rianimazione d'emergenza.

Perché è stato approvato Elaprase?

Il CHMP ha concluso che i miglioramenti mostrati nello studio, anche se limitati, rappresentano un beneficio clinico nel trattamento della sindrome di Hunter. Il CHMP ha deciso che i benefici di Elaprase sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Elaprase è stato autorizzato in "circostanze eccezionali". Ciò significa che, data la rarità della malattia, non è stato possibile ottenere informazioni complete su Elaprase. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni eventualmente disponibili e, se necessario, questo riassunto sarà aggiornato.

Quali informazioni sono ancora attese per Elaprase?

La ditta che commercializza Elaprase esaminerà gli effetti a lungo termine del medicinale, in particolare sui polmoni, sul cuore e sui vasi sanguigni, e se l'organismo produce anticorpi che potrebbero compromettere la sicurezza e l'efficacia del medicinale.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Elaprase?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Elaprase sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Elaprase

L'8 gennaio 2007 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Elaprase, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Elaprase, consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Elaprase, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Elaprase è disponibile sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 09-2016.