



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Elaprased idursulfāze

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Elaprased* Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu atzinumu par reģistrācijas apliecības piešķiršanu un ieteikumus par *Elaprased* lietošanu.

Kas ir *Elaprased*?

Elaprased ir zāles, kas satur aktīvo vielu idursulfāzi. Tās ir pieejamas kā koncentrāts infūziju (ievadīšanai vēnā pa pilienam) šķīduma pagatavošanai.

Kāpēc lieto *Elaprased*?

Elaprased lieto, lai ārstētu pieaugušos ar Hantera sindromu. Šīs zāles ir paredzētas ilgstošai lietošanai.

Hantera sindroms, ko dēvē arī par II tipa mukopolisaharidozi, ir reta iedzimta slimība, ar ko pārsvarā slimo vīriešu dzimuma pacienti. Pacientiem ar Hantera sindromu neveidojas ferments iduronāt-2-sulfatāze. Šis ferments ir nepieciešams par glikozaminoglikāniem (GAG) sauktu vielu noārdīšanai organismā. Tā kā pacienti ar Hantera sindromu nespēj šīs vielas noārdīt, GAG pakāpeniski uzkrājas vairumā ķermeņa orgānu un bojā tos. Tas izraisa veselu rindu simptomu, sevišķi elpošanas un pārvietošanās grūtības. Ja slimību neārstē, šie simptomi ar laiku kļūst smagāki.

Tā kā Hantera sindroma pacientu skaits ir mazs, slimību uzskata par retu, un 2001. gada 11. decembrī *Elaprased* apstiprināja kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Elaprased*?

Elaprased terapija jāuzrauga ārstam vai citam veselības aprūpes speciālistam ar pieredzi Hantera sindroma vai citu iedzimtu, vielmaiņu ietekmējošu slimību ārstēšanā.

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



Elapraxe ievada vēnā katru nedēļu infūzijas veidā 0,5 mg devā uz kilogramu ķermeņa svara. Infūzija ir jāveic trīs stundu garumā. Tomēr, ja infūzija neizraisa blakusparādības (izsitumus, niezi, drudzi, galvassāpes, paaugstinātu asinsspiedienu vai piesarkumu), zāles var ievadīt ātrāk, pakāpeniski saīsinot infūzijas ilgumu līdz vienai stundai.

Pacienti, kas infūziju labi panesuši klīnikā vairāku mēnešu garumā, drīkst to ievadīt mājās. Infūzijas mājās jāveic ārsta vai medmāsas uzraudzībā.

Kā *Elapraxe* darbojas?

Elapraxe aktīvā viela ir idursulfāze ir cilvēka fermenta iduronāt-2-sulfatāzes kopija. Šī viela Hantera sindroma pacientiem aizvieto trūkstošo vai bojāto fermentu. Šā fermenta nodrošināšana palīdzēs noārdīt glikozaminoglikānus (GAG) un pārtrauks to uzkrāšanos organismā, tādējādi palīdzot mazināt slimības simptomus.

Kā noritēja *Elapraxe* izpēte?

Elapraxe pamatpētījumā bija iesaistīti 96 vīriešu dzimuma pacienti vecumā no pieciem līdz 31 gadam, un tajā zāļu iedarbīgumu salīdzināja ar placebo (fiktīvu ārstēšanu). Galvenie iedarbīguma rādītāji, ar kuriem vērtēja slimības kopējo ietekmi uz sirdi, plaušām, locītavām un citiem orgāniem, bija plaušu funkcija (forsētais plaušu tilpums jeb maksimālais gaisa daudzums, ko pacients var izelpot) un attālums, ko pacients var nosojot sešās minūtēs. Šos rādītājus noteica pirms terapijas un pēc gadu ilgušas terapijas.

Kādas bija *Elapraxe* priekšrocības šajos pētījumos?

Elapraxe uzlaboja pacientu plaušu funkciju un viņu staigātspēju. Pētījuma sākumā pacienti sešās minūtēs varēja noiet vidēji aptuveni 395 metrus. Pēc gada pacienti, kuri saņēma *Elapraxe*, varēja noiet vidēji par 43 metriem lielāku attālumu, bet placebo grupas pacienti varēja noiet par 8 metriem lielāku attālumu. Turklāt šo zāļu lietošana uzlaboja plaušu funkciju, turpretī placebo grupas pacientiem novēroja nelielu plaušu funkcijas pavājināšanos.

Kāds risks pastāv, lietojot *Elapraxe*?

Visbiežāk novērotās *Elapraxe* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir saistītas ar infūziju, ieskaitot ādas reakcijas (izsitumus vai niezi), drudzi, galvassāpes, paaugstinātu asinsspiedienu un apsārtumu. Citas blakusparādības, ko novēroja vairāk nekā 1 pacientam no 10, ir sēcoša elpa, dispneja (apgrūtināta elpošana), sāpes vēderā, slikta dūša, dispepsija (grēmas), caureja, vemšana, pietūkums izfūzijas vietā un sāpes krūtīs. Dažiem pacientiem, kuri lietoja *Elapraxe*, novērotas smagas alerģiskas reakcijas. Pilns visu ziņoto blakusparādību saraksts, lietojot *Elapraxe* skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Elapraxe nedrīkst lietot pacientiem, kuriem ir bijusi smaga vai dzīvībai bīstama paaugstināta jutība (alerģija) pret idursulfāzi vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu, ja alerģiju nav iespējams kontrolēt. Ja šīs zāles dod pacientiem, kuriem agrāk ir bijusi smaga vai dzīvībai bīstama paaugstināta jutība, *Elapraxe* jālieto ar piesardzību, proti, infūzija jāievada apmācīta veselības aprūpes speciālista klātbūtnē un tuvumā jābūt pieejamam reanimācijas aprīkojumam.

Kāpēc *Elaprase* tika apstiprinātas?

CHMP secināja, ka pētījumā novērotie uzlabojumi, kaut arī ierobežoti, ir klīnisks ieguvums Hantera sindroma terapijā. Komiteja nolēma, ka pacienta ieguvums, lietojot *Elaprase*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt *Elaprase* reģistrācijas apliecību.

Elaprase ir reģistrētas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar Hantera sindroma retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Elaprase*. Eiropas Zāļu aģentūra ik gadu pārbauda visu pieejamo jauno informāciju un vajadzības gadījumā atjaunina šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Elaprase* vēl ir sagaidāma?

Uzņēmums, kas ražo *Elaprase*, pētīs šo zāļu ilgtermiņa iedarbību, jo īpaši uz plaušām, sirdi un asinsvadiem, un noskaidros, vai tās rosina tādu antivielu sintēzi organismā, kas varētu ietekmēt šo zāļu drošumu un iedarbīgumu.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu drošu un efektīvu *Elaprase* lietošanu?

Zāļu apraksta kopsavilkumā un lietošanas instrukcijā ir ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem drošas un efektīvas *Elaprase* lietošanas nolūkos.

Cita informācija par *Elaprase*

Eiropas Komisija 2007. gada 8. janvārī izsniedza *Elaprase* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Elaprase* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Elaprase* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Elaprase* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 9.2016.