



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

---

# Elaprase

idursulfase

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Elaprase. Dan jispjega kif il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iwwaluta l-mediċina sabiex wasal għall-opinjoni favorevoli tiegħu li tingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq u r-rakkomandazzjonijiet tiegħu dwar il-kondizzjonijiet ta' użu għal Elaprase.

## X'inhu Elaprase?

Elaprase huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva idursulfase. Jiġi bħala koncentrat biex jithallat f'soluzzjoni għal infużjoni (drupp) ġol-vina.

## Għal xiex jintuża Elaprase?

Elaprase jintuża biex jikkura l-pazjenti bis-sindrome ta' Hunter. Hu ma'nsab għal użu fit-tul.

Is-sindrome ta' Hunter, li huwa magħruf ukoll bħala mukopolisakkaridożi II, huwa marda rari li tintiret li taffettwa primarjament lill-pazjenti rġiel. Pazjenti bis-sindrome ta' Hunter ma jipproduċux enzima msejja iduronate-2-sulfatase. Din l-enzima hija meħtieġa biex tkisser sustanzi fil-ġisem imsejja glikosaminoglikani (GAGs). Peress li l-pazjenti bis-sindrome ta' Hunter ma jistgħux ikissru dawn is-sustanzi, il-GAGs gradwalment jitrabbew fil-biċċa l-kbira tal-organi fil-ġisem u jagħmluhom il-ħsara. Dan jikkawża firxa wiesgħa ta' sintomi, b'mod partikolari diffikultà fir-respirazzjoni u fil-mixi. Jekk ma jiġux ikkurati, dawn is-sintomi jkomplu jiggravaw maż-żmien.

Minħabba li l-għadd ta' pazjenti li għandhom is-sindrome ta' Hunter huwa baxx, il-marda hija kkunsidrata 'rari', u għaldaqstant Elaprase ingħata l-klassifikazzjoni ta' 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fil-11 ta' Diċembru 2001.

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b' riċetta tat-tabib.



## Kif jintuża Elaprase?

Il-kura b'Elaprase għandha tkun issorveljata minn tabib jew professjonist ieħor fil-qasam tal-kura tas-saħħa b'esperjenza fil-ġestjoni ta' pazjenti bis-sindrome ta' Hunter jew mard ereditarju ieħor li jaffettwa l-metaboliżmu.

Elaprase jingħata kull ġimgħa, bħala infużjoni ġol-vina, f'doża ta' 0.5 mg għal kull kilogramma tal-piż tal-ġisem. L-infużjoni jenħtieġ iddum tliet sigħat. Madankollu, sakemm il-pazjent ma jiżviluppax reazzjonijiet għall-infużjoni (raxx, ħakk, deni, uġiġħ ta' ras, pressjoni tad-demem għolja jew fwawar), b'mod ġenerali l-ħin tal-infużjoni jista' gradwalment jitnaqqas għal siegħa.

Il-pazjenti li jittolleraw sew l-infużjonijiet għal diversi xhur fi klinika jistgħu jibdedw joħduhom id-dar. L-infużjonijiet fid-dar għandhom ikunu ssorveljati minn tabib jew infermier.

## Kif jaħdem Elaprase?

Is-sustanza attiva f'Elaprase, l-idursulfase, hija kopja tal-enzima umana iduronate-2-sulfatase. Din tissostitwixxi l-enzima li hi nieqsa jew difettuża fil-pazjenti bis-sindrome ta' Hunter. L-għoti ta' din l-enzima jgħin biex ikisser il-GAGs u jwaqqafhom milli jkomplu jikbru fit-tessut tal-ġisem, u b'hekk jgħin biex jitjiebu s-sintomi tal-marda.

## Kif ġie studjat Elaprase?

L-istudju ewlieni ta' Elaprase involva 96 pazjenti rġiel li għandhom bejn il-5 snin u l-31 sena, u qabblu ma' placebo (kura finta). Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-funzjoni tal-pulmun ('kapaċità vitali sfurzata', l-ammont massimu tal-arja li l-pazjent seta' joħroġ man-nifs 'il barra) u d-distanza li l-pazjenti setgħu jimxu f'sitt minuti, li tkejjel l-effetti kkombinati tal-mard fuq il-qalb, il-pulmuni, il-ġogi u organi oħrajn. Dan il-kejl ittjiehed fil-bidu tal-istudju u wara sena ta' kura.

## X'benefiċċju wera Elaprase matul l-istudji?

Elaprase tejjeb il-funzjoni tal-pulmun u l-abbiltà tal-mixi tal-pazjenti. Fil-bidu tal-istudju, il-pazjenti setgħu jimxu medja ta' madwar 395 metru f'sitt minuti. Wara sena, il-pazjenti li ħadu Elaprase setgħu jimxu 43 metru ieħor bħala medja, u l-pazjenti li ħadu l-placebo setgħu jimxu 8 metri oħra. Il-medicina pproduċiet ukoll titjib fil-funzjoni tal-pulmun, filwaqt li l-pazjenti fuq placebo marru ftit għall-agħar.

## X'inhu r-riskju assoċjat ma' Elaprase?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Elaprase huma relatati mal-infużjoni, inkluż reazzjonijiet tal-ġilda (raxx jew ħakk), deni, uġiġħ ta' ras, pressjoni tad-demem għolja u fwawar. Effetti sekondarji oħrajn li deheru f'aktar minn pazjent 1 minn 10 huma tħarħir, dispnea (diffikultà biex tieħu n-nifs), uġiġħ addominali (uġiġħ fl-istonku), nawżja (tħossok ma tiflaħx), dispepsja (ħruq ta' stonku), dijarea, rimettar, neffha fis-sit tal-infużjoni u wġiġħ fis-sider. Xi wħud mill-pazjenti li ħadu Elaprase kellhom reazzjonijiet allergiċi gravi. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrapportati b'Elaprase, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Elaprase ma għandux jintuża minn persuni li kellhom reazzjoni allergika (anafilattika) gravi li poġġitilhom ħajjithom f'periklu għal idursulfase jew għal kwalunkwe ingredjent ieħor jekk l-allergija tagħhom mhijiex kontrollabbli. Jekk jingħata lil pazjenti li fil-passat kellhom reazzjonijiet allergiċi severi, Elaprase għandu jintuża b'kawtela, u persunal imħarreg u tagħmir għal risuxxittazzjoni ta' emerġenza għandhom ikunu disponibbli matul l-infużjoni.

## **Għaliex għie approvat Elaprase?**

Is-CHMP ikkonkluda li t-titjib muri fl-istudju, anke jekk limitat, jirrappreżenta benefiċċju kliniku fil-kura tas-sindrome ta' Hunter. Il-Kumitat iddeċieda li l-benefiċċji ta' Elaprase huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Elaprase għie awtorizzat taħt 'ċirkostanzi ta' eċċezzjoni'. Dan ifisser li billi s-sindrome ta' Hunter huwa wieħed rari, ma kienx possibbli li jinkiseb tagħrif sħiħ dwar Elaprase. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ser tirrieżamina kwalunkwe informazzjoni ġdida li tista' ssir disponibbli u dan is-sommarju se jiġi aġġornat kif ikun meħtieġ.

## **Liema informazzjoni għadha mistennija għal Elaprase?**

Il-kumpanija li tqiegħed lil Elaprase fis-suq se tinvestiga l-effetti fit-tul tal-mediċina, partikolarment fuq il-pulmuni, il-qalb u l-vażijiet, u tara jekk il-ġisem jipproduċix antikorpi li jistgħu jaffettwaw is-sigurtà u l-effikaċja tal-mediċina.

## **X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Elaprase?**

Ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Elaprase ġew inklużi fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif.

## **Informazzjoni oħra dwar Elaprase**

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Elaprase valida fl-Unjoni Ewropea kollha fit-8 ta' Jannar 2007.

L-EPAR sħiħ għal Elaprase jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Elaprase, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Elaprase jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Dan is-sommarju għie aġġornat l-aħħar f'09-2016.