



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Elaprase

idursulfase

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Elaprase. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van Elaprase vast te stellen.

Wat is Elaprase?

Elaprase is een geneesmiddel dat de werkzame stof idursulfase bevat. Het is verkrijgbaar in de vorm van een concentraat voor de bereiding van een oplossing voor infusie (indruppeling) in een ader.

Wanneer wordt Elaprase voorgeschreven?

Elaprase wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met het syndroom van Hunter. Het is bedoeld voor langdurig gebruik.

Het syndroom van Hunter, dat ook bekend is onder de naam mucopolysaccharidose II, is een zeldzame, erfelijke aandoening die hoofdzakelijk mannelijke patiënten treft. Patiënten met het syndroom van Hunter produceren niet het enzym iduronaat-2-sulfatase. Dit enzym is nodig om de glycosaminoglycanen (GAG's) in het lichaam af te breken. Omdat patiënten met het syndroom van Hunter deze stoffen niet kunnen afbreken, stapelen de GAG's zich op in de meeste organen en beschadigen deze. Dit veroorzaakt een breed spectrum aan symptomen, in het bijzonder problemen met ademen en moeilijk lopen. Zonder behandeling nemen de symptomen in de loop der tijd toe.

Aangezien het aantal patiënten met het syndroom van Hunter klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Elaprase op 11 december 2001 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

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



Hoe wordt Elaprased gebruikt?

Op een behandeling met Elaprased moet toezicht worden gehouden door een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met het syndroom van Hunter of andere erfelijke stofwisselingsziekten.

Elaprased wordt eenmaal per week toegediend als een infusie (indruppeling) in een ader, in een dosis van 0,5 mg per kilogram lichaamsgewicht. De infusie dient gedurende drie uur plaats te vinden. Zolang de patiënt echter geen infusiereacties ontwikkelt (huiduitslag, jeuk, koorts, hoofdpijn, hoge bloeddruk of blozen) kan de duur van de infusie geleidelijk worden teruggebracht tot één uur.

Patiënten die de infusies in een kliniek een aantal maanden goed verdragen, kunnen deze eventueel thuis laten toedienen. Thuis gegeven infusies moeten onder toezicht van een arts of verpleegkundige plaatsvinden.

Hoe werkt Elaprased?

Idursulfase, de werkzame stof in Elaprased, is een kopie van het humane enzym iduronaat-2-sulfatase. Het vervangt het ontbrekende of defecte enzym bij patiënten met het syndroom van Hunter. Aanvulling van dit enzym helpt de GAG's afbreken, zodat ze niet langer in het lichaamswefsel worden gestapeld. Daardoor worden de symptomen van de aandoening verlicht.

Hoe is Elaprased onderzocht?

In de hoofdstudie van Elaprased waren 96 mannelijke patiënten van 5 tot 31 jaar betrokken. Het middel werd vergeleken met een placebo (een schijnbehandeling). De voornaamste maatstaven voor de werkzaamheid waren de longfunctie ('geforceerde vitale capaciteit' ofwel de maximale hoeveelheid lucht die de patiënt kan uitademen) en de afstand die de patiënt lopend in zes minuten kon afleggen, waarbij de gecombineerde effecten van de ziekte op het hart, de longen, gewrichten en andere organen worden gemeten. Gemeten werd bij de aanvang van de studie en na een jaar behandeling.

Welke voordelen bleek Elaprased tijdens de studies te hebben?

Elaprased verbeterde zowel de longfunctie als de loopvaardigheid van de patiënten. Bij aanvang van de studie konden de patiënten in zes minuten gemiddeld 395 meter afleggen. Na een jaar konden de patiënten die Elaprased kregen gemiddeld 43 meter verder lopen, en de patiënten met de placebobehandeling 8 meter verder. Het geneesmiddel zorgde ook voor een verbetering van de longfunctie, terwijl de patiënten met de placebobehandeling iets achteruit waren gegaan.

Welke risico's houdt het gebruik van Elaprased in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Elaprased houden verband met de infusie, zoals huidreacties (huiduitslag of jeuk), koorts, hoofdpijn, hoge bloeddruk en blozen. Andere bijwerkingen die bij meer dan 1 op de 10 patiënten werden waargenomen, zijn piepende ademhaling, dyspnoe (ademhalingsproblemen), buikpijn, misselijkheid, dyspepsie (maagzuur), diarree, braken, zwelling op de plaats van infusie en pijn op de borst. Bij sommige patiënten zijn bij gebruik van Elaprased ernstige allergische reacties waargenomen. Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Elaprased.

Elaprased mag niet worden gebruikt bij mensen die in het verleden een ernstige of levensbedreigende allergische reactie hebben gehad bij het gebruik van idursulfase of enig ander bestanddeel van het middel, indien hun allergie niet onder controle kan worden gehouden. Indien Elaprased wordt toegediend aan patiënten die in het verleden ernstige allergische reacties hebben vertoond, moet dit

behoedzaam gebeuren en moet geschoold personeel, die de beschikking heeft over reanimatieapparatuur, tijdens de infusie aanwezig zijn.

Waarom is Elaprase goedgekeurd?

Het CHMP heeft geconcludeerd dat de in de studie aangetoonde verbeteringen, ook al waren deze beperkt, een klinisch voordeel betekenen voor de behandeling van patiënten met het syndroom van Hunter. Het Comité heeft besloten dat de voordelen van Elaprase groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van dit middel.

Elaprase is goedgekeurd onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit houdt in dat het niet mogelijk is volledige informatie over Elaprase te verzamelen omdat de aandoening maar zelden voorkomt. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Elaprase?

De onderneming die Elaprase op de markt brengt zal de langetermijneffecten van het middel onderzoeken, vooral de effecten op de longen, het hart en de bloedvaten, en zal nagaan of het lichaam antilichamen produceert die de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel nadelig zouden kunnen beïnvloeden.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Elaprase te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Elaprase, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Overige informatie over Elaprase

De Europese Commissie heeft op 8 januari 2007 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Elaprase verleend.

Het volledige EPAR van Elaprase is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Elaprase.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Elaprase is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 09-2016.