



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Elaprase

idursulfaza

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego produktu Elaprase. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Elaprase do obrotu, oraz zaleceń w sprawie stosowania leku.

Co to jest Elaprase?

Elaprase to lek zawierający substancję czynną idursulfazę. Lek jest dostępny w postaci koncentratu, z którego sporządza się roztwór do infuzji dożylniej (wlewu).

W jakim celu stosuje się produkt Elaprase?

Elaprase stosuje się do leczenia pacjentów z zespołem Huntera. Lek jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.

Zespół Huntera, zwany również mukopolisacharydozą II, jest rzadką chorobą dziedziczną występującą głównie u mężczyzn. Pacjenci z zespołem Huntera nie wytwarzają enzymu o nazwie sulfataza-2-iduronianu. Enzym ten jest konieczny do rozkładania występujących w organizmie substancji zwanych glikozoaminoglikanami (GAG). Ponieważ pacjenci z zespołem Huntera nie mogą rozkładać tych substancji, GAG stopniowo odkładają się w narządach i uszkadzają je. Powoduje to szereg objawów, w szczególności trudności z oddychaniem i z chodzeniem. Niepodjęcie leczenia z czasem prowadzi do nasilenia objawów.

Ze względu na to, że liczba pacjentów z zespołem Huntera jest mała, choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 11 grudnia 2001 r. produkt Elaprase uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.



Jak stosować produkt Elaprase?

Leczenie produktem Elaprase powinno odbywać się pod nadzorem lekarza lub innego pracownika służby zdrowia z doświadczeniem w prowadzeniu pacjentów z zespołem Huntera lub innymi chorobami dziedzicznymi mającymi wpływ na przemianę materii.

Elaprase podaje się raz w tygodniu w postaci infuzji dożylniej w dawce 0,5 mg na kilogram masy ciała. Infuzja powinna trwać trzy godziny. O ile u pacjenta nie wystąpi reakcja na infuzję (wysypka, świąd, gorączka, ból głowy, podwyższone ciśnienie krwi lub nagłe zaczerwienienie twarzy), czas trwania infuzji można stopniowo zmniejszać do jednej godziny.

Pacjenci, którzy przez kilka miesięcy dobrze tolerują infuzje w placówce służby zdrowia, mogą zacząć przyjmować je w domu. Infuzje domowe powinien nadzorować lekarz lub pielęgniarka.

Jak działa produkt Elaprase?

Substancja czynna produktu Elaprase, idursulfaza, jest kopią ludzkiego enzymu sulfatazy-2-iduronianu. Zastępuje ona brakujący lub uszkodzony enzym u pacjentów z zespołem Huntera. Dostarczanie enzymu umożliwia rozkład glikozoaminoglikanów (GAG) i hamuje ich gromadzenie się w tkance organizmie, pomagając w ten sposób w łagodzeniu objawów choroby.

Jak badano produkt Elaprase?

Badanie główne produktu Elaprase obejmowało 96 pacjentów płci męskiej w wieku od 5 do 31 lat i porównywano w nim produkt Elaprase z placebo (leczenie pozorowane). Głównym kryterium oceny skuteczności była czynność płuc („natężona pojemność życiowa” — maksymalna ilość wydychanego powietrza) oraz odległość pokonywana przez pacjentów w ciągu sześciu minut, co pozwalało zmierzyć łączne oddziaływanie choroby na serce, płuca, stawy i inne narządy. Pomiarów dokonano na początku leczenia oraz ponownie po roku leczenia.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Elaprase zaobserwowano w badaniach?

Produkt Elaprase wpływał na poprawę czynności płuc oraz zdolności chodzenia pacjentów. Na początku badania pacjenci byli w stanie przejść w ciągu sześciu minut średnio 395 metrów. Po roku pacjenci otrzymujący produkt Elaprase mogli pokonać średnio dalsze 43 m, podczas gdy pacjenci otrzymujący placebo mogli pokonać dalszych 8 m. Lek wpłynął również na poprawę czynności płuc, zaś u pacjentów przyjmujących placebo nastąpiło nieznaczne pogorszenie stanu.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Elaprase?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem produktu Elaprase wiążą się z infuzją i obejmują reakcje skórne (wysypka lub świąd), gorączkę, bóle głowy, wysokie ciśnienie krwi i czerwienienie skóry. Inne działania niepożądane obserwowane u więcej niż 1 pacjenta na 10 to świszczący oddech, duszności (trudności z oddychaniem), bóle brzucha (żołądka), nudności (mdłości), niestrawność (zgaga), biegunka, wymioty, obrzęk w miejscu infuzji oraz bóle w klatce piersiowej. U niektórych pacjentów przyjmujących produkt Elaprase zaobserwowano silne reakcje alergiczne. Pełny wykaz wszystkich działań niepożądanych związanych ze stosowaniem produktu Elaprase znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Produktu Elaprase nie wolno stosować u osób, u których w przeszłości wystąpiła silna lub zagrażająca życiu reakcja alergiczna (anafilaktyczna) na idursulfazę lub którykolwiek składnik produktu, jeżeli nie

ma możliwości kontroli ich alergii. W przypadku podania produktu Elaprase pacjentom, u których w przeszłości wystąpiły silne reakcje alergiczne, lek należy stosować ostrożnie, a podczas infuzji obecny powinien być wykwalifikowany personel i dostępny sprzęt do reanimacji w razie konieczności.

Na jakiej podstawie zatwierdzono produkt Elaprase?

CHMP uznał, iż poprawa stanu wykazana w badaniu, nawet w ograniczonym zakresie, stanowi korzyść kliniczną w leczeniu zespołu Huntera. Komitet uznał, że korzyści ze stosowania produktu Elaprase przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu.

Elaprase dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Oznacza to, że z uwagi na rzadkość występowania zespołu Huntera nie można było uzyskać pełnych informacji o produkcie Elaprase. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji na temat leku i w razie potrzeby uaktualni niniejsze streszczenie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Elaprase?

Firma wprowadzająca produkt Elaprase do obrotu zbada długotrwałe skutki stosowania leku, zwłaszcza na płuca, serce i naczynia krwionośne, oraz zbada, czy produkt pobudza organizm do wytwarzania przeciwciał, które mogłyby wpłynąć na bezpieczeństwo stosowania i skuteczność leku.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Elaprase?

W charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów w celu bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Elaprase.

Inne informacje dotyczące produktu Elaprase:

W dniu 8 stycznia 2007 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Elaprase do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Elaprase znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Elaprase należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Elaprase znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Data ostatniej aktualizacji: 09.2016.