



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

# Elaprase

idursulfase

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Elaprase. O seu objetivo é explicar o modo como o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) avaliou o medicamento a fim de emitir um parecer favorável à concessão de uma autorização de introdução no mercado, bem como as suas recomendações sobre as condições de utilização do Elaprase.

## O que é o Elaprase?

O Elaprase é um medicamento que contém a substância ativa idursulfase. Está disponível na forma de concentrado para preparação de uma solução para perfusão (administração gota a gota numa veia).

## Para que é utilizado o Elaprase?

O Elaprase é utilizado no tratamento de doentes com síndrome de Hunter. Destina-se a tratamento de longa duração.

A síndrome de Hunter, também conhecida por mucopolissacaridose de tipo II, é uma doença hereditária rara que afeta principalmente os homens. Os doentes com síndrome de Hunter não produzem naturalmente uma enzima denominada iduronato-2-sulfatase, necessária para a degradação, no organismo, de substâncias designadas glicosaminoglicanos (GAG). Como o organismo destes doentes não é capaz de degradar os GAG, estes acumulam-se progressivamente na maior parte dos órgãos, causando-lhes danos. Esta deficiência causa uma vasta gama de sintomas, sobretudo dificuldade em respirar e andar. Sem tratamento, estes sintomas agravam-se com o tempo.

Dado o número de doentes afetados por síndrome de Hunter ser reduzido, esta doença é considerada rara, pelo que o Elaprase foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 11 de dezembro de 2001.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



## Como se utiliza o Elaprase?

O tratamento com Elaprase deve ser supervisionado por um médico ou outro profissional de saúde com experiência no tratamento de doentes com síndrome de Hunter ou outras doenças hereditárias que afetem o metabolismo.

O Elaprase é administrado semanalmente por perfusão intravenosa, numa dose de 0,5 mg por quilograma de peso corporal. A perfusão deve ter a duração de três horas. No entanto, desde que não sejam observadas reações associadas à perfusão (erupção cutânea, comichão, febre, dores de cabeça, hipertensão ou rubor), a duração da perfusão pode ser reduzida gradualmente para uma hora.

Os doentes que tolerem bem as perfusões administradas durante vários meses numa clínica poderão começar a recebê-las em casa. As perfusões administradas em casa devem ser supervisionadas por um médico ou um enfermeiro.

## Como funciona o Elaprase?

A substância ativa do Elaprase, a idursulfase, é uma cópia da enzima humana iduronato-2-sulfatase. A idursulfase substitui a enzima inexistente ou deficiente nos doentes com síndrome de Hunter. O fornecimento desta enzima ajudará à degradação dos GAG, impedindo que estes se acumulem nos tecidos do organismo, o que contribui para melhorar os sintomas da doença.

## Como foi estudado o Elaprase?

O estudo principal do Elaprase incluiu 96 doentes do sexo masculino com idades compreendidas entre os 5 e os 31 anos, e comparou-o com um placebo (tratamento simulado). Os principais parâmetros de eficácia foram a função pulmonar («capacidade vital forçada», quantidade máxima de ar que o doente podia expirar) e a distância que os doentes eram capazes de percorrer a pé durante seis minutos, que avalia os efeitos combinados da doença no coração, nos pulmões, nas articulações e noutros órgãos. Estes parâmetros foram avaliados no início do estudo e após um ano de tratamento.

## Qual o benefício demonstrado pelo Elaprase durante os estudos?

O Elaprase melhorou a função pulmonar e a capacidade de marcha dos doentes. No início do estudo, os doentes podiam percorrer uma média de cerca de 395 metros em seis minutos. Após um ano, os doentes tratados com Elaprase podiam percorrer uma média de 43 metros adicionais, e os doentes que receberam placebo podiam percorrer mais 8 metros. O medicamento produziu igualmente uma melhoria na função pulmonar, enquanto os doentes que receberam placebo registaram um ligeiro agravamento.

## Qual é o risco associado ao Elaprase?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Elaprase são efeitos associados à perfusão, incluindo reações cutâneas (erupção ou comichão), febre, dores de cabeça, pressão arterial alta e rubor (vermelhidão da pele). Outros efeitos secundários observados em mais de 1 doente em cada 10 são pieira, dispneia (dificuldade respiratória), dor abdominal (dor de barriga), náuseas (enjoo), dispepsia (azia), diarreia, vômitos, inchaço no local da perfusão e dores no peito. Ocorreram reações alérgicas graves em alguns doentes a tomar Elaprase. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Elaprase, consulte o Folheto Informativo.

O Elaprase é contra-indicado em doentes que tenham sofrido anteriormente reações alérgicas (anafiláticas) graves ou potencialmente fatais ao idursulfase ou a qualquer outro componente do

medicamento caso a sua alergia não seja controlável. Quando administrado a doentes que tenham tido anteriormente reações alérgicas graves, o Elaprase deve ser utilizado com precaução, e durante a perfusão deverá estar disponível pessoal qualificado e equipamento para reanimação de emergência.

### **Por que foi aprovado o Elaprase?**

O CHMP concluiu que as melhorias demonstradas no estudo, embora limitadas, representam um benefício clínico no tratamento da síndrome de Hunter. O Comité concluiu que os benefícios do Elaprase são superiores aos seus riscos e recomendou a concessão de uma autorização de introdução no mercado para o medicamento.

O Elaprase foi autorizado em circunstâncias excepcionais. Isto significa que, como a síndrome de Hunter é uma doença rara, não foi possível obter informações completas sobre o Elaprase. A Agência Europeia de Medicamentos (EMA) procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

### **Que informação ainda se aguarda sobre o Elaprase?**

A empresa que produz o Elaprase investigará os efeitos do Elaprase a longo prazo e determinará se o Elaprase estimula o organismo a produzir anticorpos que possam afetar a segurança e a eficácia do medicamento.

### **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Elaprase?**

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Elaprase.

### **Outras informações sobre o Elaprase**

Em 8 de janeiro de 2007, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Elaprase.

O EPAR completo relativo ao Elaprase pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports) Para mais informações sobre o tratamento com o Elaprase, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Elaprase pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Este resumo foi atualizado pela última vez em 09-2016.