



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Súhrn správy EPAR pre verejnosť

---

# Elaprase

idursulfáza

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Elaprase. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Elaprase.

## Čo je liek Elaprase?

Elaprase je liek, ktorý obsahuje účinnú látku idursulfáza. Je dostupný ako koncentrát, z ktorého sa pripravuje infúzny roztok (na kvapkanie) do žily.

## Na čo sa liek Elaprase používa?

Liek Elaprase sa používa na liečbu pacientov s Hunterovým syndrómom. Tento liek je určený na dlhodobé používanie.

Hunterov syndróm, známy aj ako mukopolysacharidóza II, je zriedkavá dedičná choroba, ktorá postihuje hlavne mužov. Pacienti s Hunterovým syndrómom neprodukujú enzým iduronát-2-sulfatázu. Tento enzým je potrebný na štiepenie látok v tele, ktoré sa nazývajú glykózaminoglykány (GAG). Keďže pacienti s Hunterovým syndrómom nie sú schopní tieto látky štiepiť, glykózaminoglykány sa postupne hromadia takmer vo všetkých telesných orgánoch a poškodzujú ich. Toto sa prejavuje celým radom symptómov, predovšetkým ťažkosťami s dýchaním a s chôdzou. Bez liečby sa tieto symptómy postupne zhoršujú.

Keďže je počet pacientov s Hunterovým syndrómom nízky, toto ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Elaprase 11. decembra 2001 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.



## Ako sa liek Elapraxe používa?

Liečba liekom Elapraxe má prebiehať pod dohľadom lekára alebo iného zdravotníckeho odborníka, ktorý má skúsenosti so starostlivosťou o pacientov s Hunterovým syndrómom alebo s inými dedičnými chorobami ovplyvňujúcimi metabolizmus.

Liek Elapraxe sa podáva každý týždeň vo forme infúzie do žily v dávke 0,5 mg na kilogram telesnej hmotnosti. Infúzia má trvať tri hodiny. Ak sa však u pacienta nevyskytnú reakcie na infúziu (vyrážka, svrbenie, horúčka, bolesť hlavy, vysoký krvný tlak alebo návaly), liek možno podávať rýchlejšie postupným skracovaním dĺžky infúzie na jednu hodinu.

Pacienti, ktorí dobre znášajú infúzie počas niekoľkých mesiacov v nemocnici, môžu začať s ich používaním doma. Domáce infúzie sa majú podávať pod dohľadom lekára alebo zdravotnej sestry.

## Akým spôsobom liek Elapraxe účinkuje?

Účinná látka lieku Elapraxe, idursulfáza, je kópiou ľudského enzýmu iduronát-2-sulfatázy. Nahrádza chýbajúci alebo nefunkčný enzým u pacientov s Hunterovým syndrómom. Nahrádzanie enzýmu prispieva k rozkladu glykózaminoglykánov a zastavuje ich hromadenie v telesnom tkanive, čím pomáha zlepšovať príznaky ochorenia.

## Ako bol liek Elapraxe skúmaný?

Na hlavnej štúdii, v ktorej sa porovnávala účinnosť lieku Elapraxe s placebom (zdanlivým liekom), sa zúčastnilo 96 mužských pacientov vo veku od 5 do 31 rokov. Hlavným meradlom účinnosti bola funkcia pľúc (tzv. nútená vitálna kapacita, čo je maximálne množstvo vzduchu, ktoré pacient dokázal vydýchnuť) a vzdialenosť, akú bol pacient schopný prejsť za šesť minút, čím sa merajú kombinované vplyvy ochorenia na srdce, pľúca, kĺby a iné orgány. Tieto merania sa uskutočnili na začiatku štúdie a po jednom roku liečby.

## Aký prínos preukázal liek Elapraxe v týchto štúdiách?

Liek Elapraxe zlepšil funkciu pľúc a schopnosť chôdze pacientov. Na začiatku štúdie pacienti dokázali za šesť minút prejsť priemerne približne 395 metrov. Po roku liečby liekom Elapraxe pacienti dokázali prejsť v priemere o 43 m viac, pričom pacienti, ktorí dostávali placebo, dokázali prejsť iba ďalších 8 metrov. Liek zároveň zlepšil funkciu pľúc, zatiaľ čo u pacientov liečených placebom došlo k miernemu zhoršeniu.

## Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Elapraxe?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Elapraxe súvisia s infúziou a patria sem kožné reakcie (vyrážka alebo svrbenie), horúčka, bolesť hlavy, vysoký krvný tlak a návaly. Ďalšie vedľajšie účinky lieku pozorované u viac ako 1 pacienta z 10 sú sipot, dyspnoe (ťažkosti pri dýchaní), abdominálna bolesť (bolesť žalúdka), nauzea (pocit nevoľnosti), dyspepsia (pálenie záhy), hnačka, zvracanie, opuch v mieste vpichu a bolesť hrudníka. U niektorých pacientov používajúcich liek Elapraxe boli pozorované závažné alergické reakcie. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Elapraxe sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Elapraxe nesmú používať osoby, u ktorých sa v minulosti vyskytli závažné alebo život ohrozujúce alergické (anafylaktické) reakcie na idursulfázu alebo na iné zložky lieku, ak ich alergia nie je kontrolovateľná. Pri podávaní lieku pacientom, ktorí v minulosti mali závažné alergické reakcie, sa liek

Elapraxe má používať obozretne a počas infúzie má byť k dispozícii zaškolený personál a zariadenie na resuscitáciu.

## **Prečo bol liek Elapraxe povolený?**

Výbor CHMP dospel k záveru, že hoci sú zlepšenia zistené v štúdií obmedzené, predstavujú klinický prínos v liečbe Hunterovho syndrómu. Výbor rozhodol, že prínosy lieku Elapraxe sú väčšie než riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na uvedenie na trh.

Liek Elapraxe bol povolený za mimoriadnych okolností. To znamená, že úplné informácie o lieku Elapraxe nebolo možné získať, keďže táto choroba je zriedkavá. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

## **Aké informácie o lieku Elapraxe dosiaľ neboli predložené?**

Spoločnosť vyrábajúca liek Elapraxe bude skúmať dlhodobý účinok lieku, konkrétne na pľúca, srdce a krvné cievy, ako aj to, či liek stimuluje telo na vytváranie protilátok, ktoré by mohli ovplyvniť jeho bezpečnosť a účinnosť.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Elapraxe?**

Na bezpečné a účinné používanie lieku Elapraxe boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

## **Ďalšie informácie o lieku Elapraxe**

Dňa 8. januára 2007 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Elapraxe na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Elapraxe sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Elapraxe, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Elapraxe sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 09-2016