



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Elaprased

idursulfaza

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Elaprased. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil to zdravilo, na podlagi česar je oblikoval mnenje za izdajo dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

Kaj je zdravilo Elaprased?

Elaprased je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino idursulfazo. Na voljo je v obliki koncentrata za pripravo raztopine za infundiranje (kapalne infuzije) v veno.

Za kaj se zdravilo Elaprased uporablja?

Zdravilo Elaprased se uporablja za zdravljenje odraslih s Hunterjevim sindromom. Namenjeno je dolgotrajni uporabi.

Hunterjev sindrom, znan tudi kot mukopolisaharidoza tipa II, je redka, dedna bolezen, ki večinoma prizadene moške. Bolniki s Hunterjevim sindromom ne proizvajajo encima, imenovanega iduronat-2-sulfataza. Ta encim telo potrebuje za razgradnjo snovi, imenovanih glikozaminoglikani (GAG). Bolniki s Hunterjevim sindromom ne morejo razgraditi teh snovi, ki se zato kopičijo v večini telesnih organov in jih poškodujejo, kar vodi do številnih simptomov, zlasti težav z dihanjem in hojo. Brez zdravljenja postanejo sčasoma ti simptomi vse resnejši.

Ker je bolnikov s Hunterjevim sindromom malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Elaprased 11. decembra 2001 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept.

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



Kako se zdravilo Elaprased uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Elaprased mora nadzorovati zdravnik ali strokovni zdravstveni delavec, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov s Hunterjevim sindromom ali drugimi dednimi presnovnimi boleznimi.

Zdravilo Elaprased se daje vsak teden kot infuzija v veno v odmerku 0,5 mg na kilogram telesne mase. Infundiranje naj traja tri ure. Če se pri bolniku ne pojavijo reakcije na infundiranje (izpuščaj, srbenje, povišana telesna temperatura, glavobol, visok krvni tlak ali vročinski oblivi), se lahko infundiranje postopoma skrajša na eno uro.

Bolniki, ki infundiranje v bolnišnici dobro prenašajo več mesecev, ga morda lahko nadaljujejo doma. Infundiranje na domu mora nadzorovati zdravnik ali zdravstveno osebje.

Kako zdravilo Elaprased deluje?

Zdravilna učinkovina zdravila Elaprased, idusulfaza, je kopija človeškega encima iduronat-2-sulfataze. Nadomešča encim, ki ga bolniki s Hunterjevim sindromom nimajo ali je okvarjen. Nadomeščanje encima pomaga pri razgradnji glikozaminoglikanov, ki se nehalo kopičiti v telesnih tkivih, kar pomaga pri izboljšanju simptomov bolezni.

Kako je bilo zdravilo Elaprased raziskano?

V glavni študiji je sodelovalo 96 moških bolnikov v starosti od 5 do 31 let, pri katerih so zdravilo Elaprased primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bilo delovanje pljuč (forsirana vitalna kapaciteta, tj. največja količina zraka, ki jo bolnik lahko naenkrat izdihne) in razdalja, ki jo bolnik lahko prehodi v šestih minutah, s čimer se merijo skupni učinki bolezni na srce, pljuča, sklepe in druge organe. Meritve so izvedli ob začetku študije in po enem letu zdravljenja.

Kakšne koristi je zdravilo Elaprased izkazalo med študijami?

Zdravilo Elaprased je pri bolnikih izboljšalo delovanje pljuč in zmožnost hoje. Na začetku študije so bolniki v šestih minutah povprečno lahko prehodili 395 metrov. Po enem letu so bolniki, ki so prejeli zdravilo Elaprased, lahko prehodili dodatnih 43 metrov, bolniki, ki so prejeli placebo pa 8 metrov. Tudi delovanje pljuč se je ob jemanju zdravila izboljšalo, ob jemanju placeba pa rahlo poslabšalo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Elaprased?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Elaprased so povezani z infundiranjem, vključno s kožnimi reakcijami (izpuščaj ali srbenje), povišano telesno temperaturo, glavobolom, visokim krvnim tlakom in vročinskimi oblivi. Drugi neželeni učinki, opaženi pri več kot 1 bolniku od 10, so sopenje, dispneja (oteženo dihanje), bolečine v trebuhu, navzeja (slabost), dispepsija (zgaga), driska, bruhanje, otekanje na mestu infundiranja in bolečine v prsnem košu. Pri nekaterih bolnikih, ki so je jemali zdravilo Elaprased, so se pojavile resne alergijske reakcije. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Elaprased, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Elaprased ne smejo uporabljati osebe, ki so v preteklosti imele resno ali smrtno nevarno alergijsko (anafilaktično) reakcijo na idursulfazo ali katero koli drugo sestavino zdravila, če njihove alergije ni mogoče nadzorovati. Bolnikom, ki so v preteklosti imeli resno alergijsko reakcijo, je treba zdravilo Elaprased dajati previdno, med infundiranjem pa mora biti na voljo usposobljeno osebje in oprema za oživljanje.

Zakaj je bilo zdravilo Elaprasedobreno?

CHMP je zaključil, da izboljšanja, ki so jih prikazali v študiji, četudi omejena, pomenijo klinično korist pri zdravljenju Hunterjevega sindroma. Zato je zaključil, da so koristi zdravila Elaprased večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj izda dovoljenje za promet.

Zdravilo Elaprased je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti Hunterjevega sindroma o zdravlilu Elaprased še ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto pregledala vse razpoložljive nove informacije in posodobila ta povzetek, če bo to potrebno.

Katere informacije o zdravlilu Elaprased še pričakujemo?

Družba, ki trži zdravilo Elaprased, bo proučila njegove dolgoročne učinke, zlasti na pljuča, srce in krvne žile in raziskala, ali telo proizvaja protitelesa, ki bi lahko vplivala na varnost in učinkovitost zdravila.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Elaprased?

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo tega zdravila upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravlilu Elaprased

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Elaprased, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 8. januarja 2007.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Elaprased je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Elaprased preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravlilu Elaprased je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 09-2016.