



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Elaprase

idursulfas

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Elaprase. Det förklarar hur kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är Elaprase?

Elaprase är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen idursulfas. Det finns som ett koncentrat som bereds till en infusionsvätska, lösning (ges som dropp i en ven).

Vad används Elaprase för?

Elaprase används för att behandla patienter med Hunters syndrom. Det är avsett för långtidsbehandling.

Hunters syndrom kallas också mukopolysackaridos II och är en sällsynt och ärftlig sjukdom som främst drabbar män. Patienter med Hunters syndrom producerar inte enzymet iduronat-2-sulfatas. Detta enzym är nödvändigt för att bryta ner ämnen i kroppen som kallas glykosaminoglykaner (GAG). Eftersom glykosaminoglykanerna inte bryts ner hos patienter med Hunters syndrom ansamlas de så småningom i de flesta av kroppens organ och skadar dem. Detta framkallar en mängd olika symtom, främst svårigheter att andas och att gå. Om patienten inte får behandling blir symtomen värre med tiden.

Eftersom antalet patienter med Hunters syndrom är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Elaprase klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 11 december 2001.

Läkemedlet är receptbelagt.

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



Hur används Elaprase?

Behandling med Elaprase ska övervakas av läkare eller annan vårdpersonal som har erfarenhet av att behandla patienter med Hunters syndrom eller andra ärftliga sjukdomar som påverkar ämnesomsättningen.

Elaprase ges varje vecka som infusion i en ven med en dos på 0,5 mg per kilogram kroppsvikt. Infusionen ska pågå i tre timmar. Så länge patienten inte drabbas av reaktioner under infusionen (hudutslag, klåda, feber, huvudvärk, förhöjt blodtryck eller blodvällning) kan infusionstiden successivt minskas till en timme.

För patienter som tolererar infusionerna väl i flera månader på en klinik kan det vara möjligt att börja få dem hemma. När infusionerna ges i hemmet måste de övervakas av läkare eller sjuksköterska.

Hur verkar Elaprase?

Den aktiva substansen i Elaprase, idursulfas, är en kopia av det humana enzymet iduronat-2-sulfatas. Idursulfas ersätter det enzym som patienter med Hunters syndrom saknar eller har brist på. Genom att enzymet tillförs förbättras nedbrytningen av glykosaminoglykanerna och de hindras från att ansamlas i kroppens vävnader. På så sätt kan sjukdomssymtomen förbättras.

Hur har Elaprases effekt undersökts?

Huvudstudien av Elaprase omfattade 96 manliga patienter i åldern 5–31 år. I studien jämfördes Elaprase med placebo (overksam behandling). De viktigaste effektmåtten var lungfunktion ("forcerad vitalkapacitet", den maximala luftvolym som patienten kan andas ut) och den sträcka som patienterna kunde gå på sex minuter. Detta ger ett mått på de samlade effekter som sjukdomen har på hjärta, lungor, leder och andra organ. Mätningarna gjordes vid studiens början och efter ett års behandling.

Vilken nytta har Elaprase visat vid studierna?

Elaprase förbättrade patienternas lungfunktion och förmåga att gå. När studien inleddes kunde patienterna i genomsnitt gå cirka 395 meter på sex minuter. Efter ett år kunde de patienter som fick Elaprase i genomsnitt gå 43 meter längre och de patienter som fick placebo kunde gå 8 meter längre. Elaprase förbättrade också lungfunktionen, medan lungfunktionen hos placebopatienterna försämrades något.

Vilka är riskerna med Elaprase?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Elaprase har samband med infusionen och är bland annat hudreaktioner (utslag eller klåda), feber, huvudvärk, högt blodtryck och hudrodnad. Andra biverkningar som uppträder hos fler än 1 av 10 patienter är väsande andning, dyspné (andningssvårigheter), magsmärter, illamående, dyspepsi (halsbränna), diarré, kräkningar, svullnad på injektionsstället och bröstsmärter. Allvarliga allergiska reaktioner har observerats hos vissa patienter som tagit Elaprase. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Elaprase finns i bipacksedeln.

Elaprase får inte ges till patienter som tidigare drabbats av svåra eller livshotande allergiska (anafylaktiska) reaktioner mot idursulfas eller något annat innehållsämne om deras allergi inte kan kontrolleras. Om Elaprase ges till patienter som tidigare haft allvarliga allergiska reaktioner måste det ges med försiktighet och utbildad personal och utrustning för akut återupplivning ska finnas tillgänglig under infusionen.

Varför har Elaprase godkänts?

CHMP kom fram till att de förbättringar, om än begränsade, som studien visat ger kliniska fördelar vid behandling av Hunters syndrom. Kommittén fann att nyttan med Elaprase är större än riskerna och rekommenderade att Elaprase skulle godkännas för försäljning.

Elaprase har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Elaprase eftersom sjukdomen är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när så behövs.

Vilken information om Elaprase saknas för närvarande?

Företaget som tillverkar Elaprase kommer att undersöka långtidseffekterna av läkemedlet, särskilt med avseende på lungor, hjärta och blodkärl, och om det stimulerar kroppen att producera antikroppar som kan påverka läkemedlets säkerhet och effekt.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Elaprase?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Elaprase har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Elaprase

Den 8 januari 2007 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Elaprase som gäller i hela EU.

EPAR för Elaprase finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Mer information om behandling med Elaprase finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Elaprase från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 09-2016.