



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/541649/2018
EMA/H/C/004438

Mepsevii (*westronidaza alfa*)

Przegląd wiedzy na temat leku Mepsevii i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Co to jest lek Mepsevii i w jakim celu **się** go stosuje

Mepsevii jest lekiem stosowanym w leczeniu mukopolisacharydozy typu VII (MPS VII, zwanej również zespołem Sly), choroby dziedzicznej spowodowanej brakiem enzymu potrzebnego do rozkładu złożonych węglowodanów, znanych jako glikoaminoglikany (GAG).

Choroba prowadzi do gromadzenia się glikoaminoglikanów w organizmie, powodując szereg problemów, w tym sztywność stawów, niedobór wzrostu, powiększenie wątroby i śledziony, utratę słuchu, zaćmę i opóźnienia w rozwoju.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z MPS VII choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 21 marca 2012 r. lek Mepsevii uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocowego można znaleźć tutaj: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Lek Mepsevii zawiera substancję czynną westronidazę alfa.

Jak **stosować** lek Mepsevii

Lek Mepsevii podaje się co dwa tygodnie we wlewie dożylnym trwającym 4 godziny. Zalecana dawka w każdym wlewie wynosi 4 mg na kilogram masy ciała. Przed wlewem pacjent jest poddawany leczeniu przeciwhistaminowemu w celu zmniejszenia ryzyka reakcji alergicznych.

Lek jest wydawany na receptę i powinien być podawany przez odpowiednio wykształconego pracownika służby zdrowia, który może udzielać pomocy w nagłych wypadkach. Leczenie powinno być również nadzorowane przez pracownika służby zdrowia z doświadczeniem w leczeniu MPS VII.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Mepsevii znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.



Jak **działa** lek Mepsevii

Lek Mepsevii stosuje się w enzymatycznej terapii zastępczej, polegającej na zastąpieniu brakującego enzymu (beta-glukuronidazy) u pacjentów z MPS VII, co jest pomocne w rozkładzie glikozoaminoglikanów i wstrzymuje ich gromadzenie się w organizmie.

Korzyści ze stosowania leku Mepsevii wykazane w badaniach

Wykazano, że lek Mepsevii obniża poziom glikozoaminoglikanów w organizmie oraz zmniejsza lub stabilizuje objawy u pacjentów z MPS VII.

W badaniu głównym obejmującym 12 pacjentów z MPS VII u pacjentów leczonych lekiem Mepsevii przez 6 miesięcy poziom GAG w moczu obniżył się o 65 %. U 11 z 12 pacjentów objawy, w tym objawy dotyczące wzroku i ruchu, uległy poprawie lub nie uległy pogorszeniu.

Ryzyko **związane** ze stosowaniem leku Mepsevii

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Mepsevii (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to: reakcja anafilaktyczna (nagła, poważna reakcja alergiczna), pokrzywka (swędząca wysypka) i opuchlizna w miejscu wlewu.

Leku Mepsevii nie wolno stosować u pacjentów, u których kiedykolwiek wystąpiła reakcja anafilaktyczna na westronidazę alfa lub którykolwiek inny składnik leku. Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Mepsevii w UE

Lek Mepsevii obniża poziom GAG w organizmie i poprawia lub przynajmniej stabilizuje objawy MPS VII. Ponadto nasilenie większości działań niepożądanych jest łagodne do umiarkowanego.

Chociaż dostępne są jedynie ograniczone dane pochodzące z badań klinicznych, Europejska Agencja Leków wzięła pod uwagę zagrażający życiu i osłabiający organizm charakter MPS VII oraz brak dopuszczonych do obrotu leków. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Mepsevii przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Mepsevii dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Mepsevii z uwagi na rzadkie występowanie choroby i z powodów naukowych. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Mepsevii

W związku z tym, że Mepsevii uzyskał dopuszczenie do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca Mepsevii do obrotu przeprowadzi badanie w celu dostarczenia danych na temat długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa Mepsevii, jak również na temat samej choroby, w tym jej progresji i rozwoju objawów.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Mepsevii

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Mepsevii w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Mepsevii są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Mepsevii są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje **dotyczące** leku Mepsevii

Dalsze informacje na temat leku Mepsevii znajdują 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).