



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/109796/2014  
EMA/H/C/002779

## Резюме на EPAR за обществено ползване

---

### Vimizim

elosulfase alfa

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Vimizim. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Vimizim.

За практическа информация относно употребата на Vimizim пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

### Какво представлява Vimizim и за какво се използва?

Vimizim е лекарство, съдържащо активното вещество елосулфаза алфа (*elosulfase alfa*). Използва се за лечение на пациенти с мукополизахаридоза тип IVA (MPS IVA, известна и като синдром на Моркио А). Тази болест се причинява от липсата на ензим, наречен N-ацетилгалактозамин-6-сулфатаза, който е необходим за разграждането на вид вещества в тялото, наречени гликозаминогликани (ГАГ). Ако ензимът не е наличен или е наличен в много малки количества, ГАГ не могат да се разградят и се натрупват в костите и органите. Това причинява признаци на болестта, най-явните от които са къси кости, затруднено движение и дишане, потъмняване на очите и загуба на слуха.

Тъй като броят пациенти с MPS IVA е малък, болестта се счита за „рядка“ и Vimizim е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 24 юли 2009 г.

### Как се използва Vimizim?

Лечението с Vimizim трябва да се контролира от лекар с опит в лечението на MPS IVA или сходни болести. Лекарството се отпуска по лекарско предписание и трябва да се прилага от подходящо обучен здравен специалист.

Vimizim се предлага под формата на концентрат за инфузионен (капков) разтвор за приложение във вена. Препоръчителната доза е 2 mg на килограм телесно тегло, прилагана веднъж седмично.

---

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7418 8416

E-mail [info@ema.europa.eu](mailto:info@ema.europa.eu) Website [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

An agency of the European Union



Инфузията трябва да продължи около 4 часа. Преди да приеме Vimizim, пациентът трябва да получи лекарство за предотвратяване на алергична реакция към Vimizim. Възможно е пациентите да получат и лекарство за предотвратяване на повишена температура.

## **Как действа Vimizim?**

Vimizim представлява ензим-заместваща терапия. Ензим-заместващата терапия осигурява на пациентите ензима, който липсва при тях. Активното вещество във Vimizim е елосулфаза алфа е копие на човешкия ензим N-ацетилгалактозамин-6-сулфатаза. Ензим-заместващата терапия помага да се разградят ГАГ и спира натрупването им в клетките, като по този начин подобрява симптомите на MPS IVA.

Елосулфаза алфа се произвежда по метод, известен като „рекомбинантна ДНК технология“: произвежда се в клетки, в които е въведен ген (ДНК), който им позволява да го произведат.

## **Какви ползи от Vimizim са установени в проучванията?**

Vimizim е изследван в едно главно проучване, включващо 176 пациенти с MPS IVA, което сравнява Vimizim с плацебо (сляпо лечение). Основният показател за ефективност е промяната в разстоянието, което пациентите могат да извървят за шест минути след 6-месечно лечение.

Преди лечение пациентите успяват да извървят средно 200 метра за шест минути. След 6 месеца пациентите, лекувани с препоръчителната доза Vimizim, успяват да извървят допълнителни 37 метра средно за шест минути в сравнение с 14 метра повече при пациентите, приемащи плацебо. Резултатите от проучването предполагат също, че лекарството може да подобри дишането на пациентите и способността им да изкачват стълби, а при деца - техния растеж.

## **Какви са рисковете, свързани с Vimizim?**

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Vimizim (които е възможно да засегнат повече от 1 на 10 души) са реакции, свързани с инфузията, включително главоболие, гадене (позиви за повръщане), повръщане, температура, втрисане и абдоминална болка (болка в корема). Те обикновено са леки или умерени и са по-чести през първите 12 седмици на лечение. Сериозните, но нечести реакции, свързани с инфузията, включват анафилаксия (тежка алергична реакция). За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Vimizim, вижте листовката.

Vimizim не трябва да се използва при пациенти, които получават животозастрашаващи алергични реакции към елосулфаза алфа или някоя от другите съставки във Vimizim.

## **Защо Vimizim е разрешен за употреба?**

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от Vimizim са по-големи от рисковете, и препоръча да бъде разрешен за употреба в ЕС. CHMP заключава, че след 6-месечно лечение Vimizim е доказано ефективен при подобряване на разстоянието, което пациентите могат да извървят за шест минути, и това е придружено от други ползотворни ефекти, включително по-добра способност за извършване на всекидневни дейности. Също така Комитетът счита, че профилът на безопасност на Vimizim изглежда управляем и сериозните нежелани реакции са нечести, но е необходимо да се съберат допълнителни данни за дългосрочната безопасност.

## Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Vimizim?

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Vimizim се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и листовката за Vimizim, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

Освен това фирмата, която произвежда Vimizim, трябва да гарантира, че на всички здравни специалисти, от които се очаква да предписват или използват лекарството, са осигурени образователни материали, които ги информират за начина, по който трябва да се използва лекарството, и за риска от тежки алергични реакции. Фирмата също така ще създаде регистър, за да се оценят дългосрочните ползи и рискове от Vimizim.

Допълнителна информация може да се намери в [резюмето на плана за управление на риска](#).

### Допълнителна информация за Vimizim

На 28 април 2014 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Vimizim, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR и резюме на плана за управление на риска за Vimizim може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация относно лечението с Vimizim, прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Vimizim може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Дата на последно актуализиране на текста 04-2014.