



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Vimizim

elosulfasum alfa

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Vimizim. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Vimizim používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Vimizim, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Vimizim a k čemu se používá?

Vimizim je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku elosulfasa alfa. Používá se k léčbě pacientů s mukopolysacharidózou typu IVA (MPS IVA, známou také jako syndrom Morquio A). Onemocnění je způsobeno absencí enzymu zvaného N-acetylgalaktosamin-6-sulfatáza, který je v těle nutný k odbourávání látek zvaných glykosaminoglykany (GAG). Jestliže enzym není přítomen nebo je přítomen pouze ve velmi malém množství, nemohou být GAG odbourávány a ukládají se v kostech a orgánech. To způsobuje příznaky onemocnění, z nichž jsou nejvýraznější krátké kosti, obtížný pohyb a dýchání, oční zákal a ztráta sluchu.

Jelikož počet pacientů s MPS IVA je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Vimizim byl dne 24. července 2009 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Jak se přípravek Vimizim používá?

Léčba přípravkem Vimizim by měla probíhat pod dohledem lékaře se zkušenostmi v oblasti péče o pacienty s MPS IVA nebo podobnými onemocněními. Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis a přípravek by měl podávat zdravotnický pracovník, který je proškolený odpovídajícím způsobem.



Vimizim je dostupný jako koncentrát pro přípravu infuzního roztoku (kapání do žíly). Doporučená dávka přípravku je 2 mg/kg tělesné hmotnosti podávaná jednou týdně. Infuze by měla být podávána přibližně po dobu 4 hodin. Před podáním přípravku Vimizim by pacientům měl být podán léčivý přípravek pro prevenci alergické reakce na přípravek Vimizim. Pacientům je možné podat také léčivý přípravek pro prevenci horečky.

Jak přípravek Vimizim působí?

Přípravek Vimizim je enzymová substituční terapie. V rámci enzymové substituční terapie jsou pacientům podávány enzymy, které jim chybějí. Léčivá látka v přípravku Vimizim, elosulfasa alfa, je kopií lidského enzymu N-acetylgalaktosamin-6-sulfatázy. Náhradní enzym pomáhá odbourávat glykosaminoglykany a zabraňuje jejich zabudování do buněk, čímž zlepšuje symptomy MPS IVA.

Elosulfasa alfa se vyrábí postupem zvaným „technologie rekombinantní DNA“: je vytvářena buňkami, do nichž byl vložen gen (DNA), díky němuž jsou schopny produkovat tento enzym.

Jaké přínosy přípravku Vimizim byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Vimizim byl zkoumán v jedné hlavní studii, která zahrnovala 176 pacientů s MPS IVA a která srovnávala přípravek Vimizim s placebem (léčbou neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti byla změna vzdálenosti, kterou byli pacienti schopni ujít za šest minut, hodnocená po 6 měsících léčby.

Před léčbou byli pacienti schopni za dobu šesti minut ujít průměrně o něco více než 200 metrů. Po 6 měsících léčby byli pacienti léčení doporučenou dávkou přípravku Vimizim schopni ujít za šest minut v průměru o 37 m více v porovnání s nárůstem o 14 metrů u pacientů, kteří dostávali placebo. Výsledky studie také naznačují, že léčivý přípravek by mohl zlepšovat dýchání pacientů i jejich chůzi do schodů a u dětí také růst.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Vimizim?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Vimizim (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou reakce související s infuzí, včetně bolesti hlavy, nauzey (nevolnosti), zvracení, horečky, pocitu mrazení a bolesti břicha (bolesti v oblasti žaludku). Tyto účinky jsou obvykle mírné až středně závažné a jsou častější během prvních 12 týdnů léčby. Mezi závažné, ale méně časté reakce spojené s infuzemi patří anafylaxe (závažná alergická reakce). Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Vimizim je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Vimizim se nesmí užívat u pacientů, u kterých došlo k život ohrožující alergické reakci na elosulfasu alfa nebo na kteroukoli další složku tohoto přípravku.

Na základě čeho byl přípravek Vimizim schválen?

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury rozhodl, že přínosy přípravku Vimizim převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby byl schválen k použití v EU. Výbor CHMP dospěl k závěru, že po 6 měsících léčby bylo prokázáno, že přípravek Vimizim je účinný při zvyšování vzdálenosti, kterou jsou pacienti schopni ujít za šest minut, a toto zlepšení bylo provázeno dalšími přínosnými účinky, včetně zlepšené schopnosti provádět každodenní činnosti. Výbor dospěl také k názoru, že bezpečnostní profil přípravku Vimizim se zdá být zvladatelný a že závažné nežádoucí účinky nejsou časté, je nicméně nutné dále shromažďovat dlouhodobé údaje týkající se bezpečnosti.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Vimizim?

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku Vimizim byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Vimizim zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci i pacienti.

Výrobce přípravku Vimizim navíc zajistí, aby zdravotnickým pracovníkům, u kterých se očekává, že budou léčivý přípravek předepisovat či používat, byl poskytnut vzdělávací materiál informující je o způsobu použití léčivého přípravku a o riziku závažných alergických reakcí. Společnost také zřídí registr pro hodnocení dlouhodobých přínosů a rizik přípravku Vimizim.

Další informace jsou uvedeny ve [shrnutí plánu řízení rizik](#).

Další informace o přípravku Vimizim

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Vimizim platné v celé Evropské unii dne 28. dubna 2014.

Plné znění zprávy EPAR a shrnutí plánu řízení rizik pro přípravek Vimizim je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Další informace o léčbě přípravkem Vimizim naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Vimizim vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 04-2014.