



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Vimizim

Elosulfase alfa

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Vimizim. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Vimizim zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Vimizim benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Vimizim und wofür wird es angewendet?

Vimizim ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Elosulfase alfa enthält. Es wird zur Behandlung von Patienten mit Mucopolysaccharidose vom Typ IVA (MPS IVA, auch bekannt als Morquio A-Syndrom) angewendet. Verursacht wird diese Krankheit durch den Mangel an einem Enzym namens N-Acetylgalactosamin-6-Sulfatase, das vom Körper benötigt wird, um sogenannte Glykosaminoglykane (GAGs) abzubauen. Fehlt dieses Enzym oder ist es in nur sehr geringen Mengen vorhanden, können die GAGs nicht abgebaut werden und reichern sich in den Knochen und Organen an. Dies führt dann zu den typischen Merkmalen der Krankheit, von denen sich Minderwuchs (kurze Knochen), Beschwerden beim Gehen und Atmen, Hornhauttrübung und Hörverlust am stärksten bemerkbar machen.

Da es nur wenige Patienten mit MPS IVA gibt, gilt die Krankheit als selten, und Vimizim wurde am 24. Juli 2009 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Wie wird Vimizim angewendet?

Die Behandlung mit Vimizim sollte unter Aufsicht eines Arztes erfolgen, der in der Behandlung von Patienten mit MPS IVA bzw. vergleichbaren Krankheiten erfahrenen ist. Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und sollte von einem entsprechend geschulten Angehörigen der Gesundheitsberufe verabreicht werden.



Vimizim ist als Konzentrat zur Herstellung einer intravenösen Infusionslösung (Tropfinfusion) erhältlich. Die empfohlene Dosis beträgt 2 mg pro Kilogramm Körpergewicht, verabreicht einmal pro Woche. Die Infusion sollte über etwa 4 Stunden verabreicht werden. Vor Beginn der Infusion mit Vimizim sollten die Patienten ein Arzneimittel zur Verhinderung einer allergischen Reaktion auf Vimizim erhalten. Den Patienten kann auch ein Arzneimittel zur Verhinderung von Fieber (Antipyretikum) gegeben werden.

Wie wirkt Vimizim?

Vimizim ist eine Enzym-Ersatz-Therapie. Eine Enzym-Ersatz-Therapie versorgt Patienten mit dem Enzym, das sie selbst nicht (ausreichend) herstellen können. Bei dem Wirkstoff in Vimizim, Elosulfase alfa, handelt es sich um eine Kopie des humanen Enzyms N-Acetylgalactosamin-6-Sulfatase. Dieses Ersatzenzym unterstützt den Abbau von GAGs und stoppt deren Anreicherung in den Zellen, was dazu führt, dass die Symptome der MPS IVA gelindert werden.

Elosulfase alfa wird mittels rekombinanter DNA-Technologie hergestellt, einer Methode, bei der ein bestimmtes Gen (DNA) in eine Zelle eingebracht wird und diese dazu befähigt, das gewünschte Enzym zu produzieren.

Welchen Nutzen hat Vimizim in den Studien gezeigt?

Vimizim wurde in einer Hauptstudie, an der 176 Patienten mit MPS IVA teilnahmen, mit einem Placebo (einem Scheinmedikament) verglichen. Das Hauptkriterium für die Wirksamkeit war die Zunahme der Strecke, die Patienten nach 6-monatiger Behandlung innerhalb von sechs Minuten zu Fuß gehen konnten.

Vor der Behandlung konnten die Patienten in sechs Minuten durchschnittlich 200 Meter zu Fuß zurücklegen. Nach 6 Monaten konnten Patienten, die mit der empfohlenen Dosis Vimizim behandelt worden waren, in sechs Minuten im Schnitt 37 Meter weiter laufen, während die Patienten, die das Placebo verabreicht bekommen hatten, eine 14 Meter längere Strecke schafften. Das Ergebnis der Studie legte außerdem nahe, dass das Arzneimittel die Atmung und das Treppensteigen bei Patienten verbessern kann und bei Kindern das Wachstum.

Welche Risiken sind mit Vimizim verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Vimizim (die mehr als 1 von 10 Personen betreffen können) sind Infusionsreaktionen, u. a. Kopfschmerzen, Übelkeit, Erbrechen, Fieber, Schüttelfrost und Bauchschmerzen. Diese sind in der Regel leicht bis mäßig und treten in den ersten 12 Behandlungswochen häufiger auf. Zu den schwerwiegenden, aber nur gelegentlich auftretenden Infusionsreaktionen gehört eine Anaphylaxie (schwere allergische Reaktion). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Vimizim berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Vimizim darf nicht bei Patienten angewendet werden, die eine lebensbedrohliche allergische Reaktion auf Elosulfase alfa oder irgendeinen anderen Inhaltsstoff von Vimizim gezeigt haben.

Warum wurde Vimizim zugelassen?

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Vimizim gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen. Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass die Patienten nach 6-monatiger Behandlung mit Vimizim innerhalb von sechs Minuten nachweislich eine größere Strecke zu Fuß gehen konnten und dies mit anderen günstigen Auswirkungen, u. a. einer Verbesserung in der Fähigkeit, tägliche

Aktivitäten durchzuführen, einherging. Der Ausschuss war weiterhin der Ansicht, dass das Sicherheitsprofil von Vimizim beherrschbar zu sein scheint und schwerwiegende Nebenwirkungen selten sind, Langzeit-Sicherheitsdaten jedoch weiter gesammelt werden müssen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Vimizim ergriffen?

Es wurde ein Risikomanagementplan entwickelt, um sicherzustellen, dass Vimizim so sicher wie möglich angewendet wird. Auf der Grundlage dieses Plans wurden Sicherheitsinformationen in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage für Vimizim aufgenommen, einschließlich geeigneter Vorsichtsmaßnahmen für Angehörige der Gesundheitsberufe und Patienten.

Außerdem muss der Hersteller von Vimizim sicherstellen, dass alle Angehörigen der Gesundheitsberufe, die dieses Arzneimittel voraussichtlich verschreiben oder anwenden, Schulungsmaterial erhalten, welches sie über die korrekte Anwendung des Arzneimittels und das Risiko schwerwiegender allergischer Reaktionen informiert. Das Unternehmen wird auch ein Verzeichnis zur Abschätzung des Langzeit-Nutzens und der Langzeit-Risiken von Vimizim erstellen.

Nähere Informationen sind in der [Zusammenfassung des Risikomanagementplans](#) enthalten.

Weitere Informationen über Vimizim

Am 28. April 2014 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Vimizim in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR und die Zusammenfassung des Risikomanagementplans für Vimizim finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Vimizim benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Vimizim finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im April 2014 aktualisiert.