



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Vimizim

elosulfase alfa

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Vimizim. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Vimizim.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Vimizim, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευόμαστε το φύλλο οδηγιών χρήσης που συνοδεύει το φάρμακο ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Vimizim και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Vimizim είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία elosulfase alfa. Χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών με βλενοπολυσακχαρίδωση τύπου IVA (MPS IVA, γνωστό και ως Σύνδρομο Morquio A). Η συγκεκριμένη νόσος προκαλείται από την έλλειψη ενός ενζύμου, της N-ακετυλογαλακτοζαμίνης-6-σουλφατάσης, η οποία είναι απαραίτητη για τη διάσπαση ουσιών του οργανισμού που ονομάζονται γλυκοζαμινογλυκάνες (GAG). Εάν το ένζυμο απουσιάζει, ή υπάρχει μόνο σε πολύ μικρές ποσότητες, οι γλυκοζαμινογλυκάνες δεν μπορούν να διασπαστούν και συσσωρεύονται στα οστά και στα όργανα, προκαλώντας τα συμπτώματα της νόσου. Τα σημαντικότερα από αυτά είναι χαμηλό ανάστημα, δυσκολία στην κίνηση και στην αναπνοή, θολερότητα των οφθαλμών και απώλεια ακοής.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με MPS IVA και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Vimizim χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 24 Ιουλίου 2009.

Πώς χρησιμοποιείται το Vimizim;

Η θεραπεία με Vimizim πρέπει να παρακολουθείται από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία ασθενών με MPS IVA ή παρόμοιες νόσους. Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή, η δε λήψη του πρέπει να πραγματοποιείται από κατάλληλα εκπαιδευμένο επαγγελματία φροντίδας υγείας.

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 Website www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Το Vimizim διατίθεται σε μορφή πυκνού διαλύματος για την παρασκευή διαλύματος προς έγχυση (στάγδην χορήγηση) εντός της φλέβας. Η συνιστώμενη δόση είναι 2mg ανά κιλό σωματικού βάρους χορηγούμενη μία φορά την εβδομάδα. Η έγχυση διαρκεί περίπου 4 ώρες. Πριν από τη λήψη του Vimizim, πρέπει να χορηγηθεί στον ασθενή φάρμακο για την αποφυγή αλλεργικής αντίδρασης. Μπορεί, επίσης, να χορηγηθεί αντιπυρετικό.

Πώς δρα το Vimizim;

Το Vimizim είναι θεραπεία ενζυμικής αποκατάστασης. Η θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης παρέχει στους ασθενείς το ένζυμο που τους λείπει. Η δραστική ουσία του Vimizim, η elosulfase alfa, είναι αντίγραφο του ανθρώπινου ενζύμου N-ακετυλογαλακτοζαμίνη 4-σουλφατάση. Το ένζυμο αποκατάστασης βοηθά στη διάσπαση των γλυκοζαμινογλυκανών και σταματά τη συσσώρευσή τους στα κύτταρα, βελτιώνοντας κατ' αυτόν τον τρόπο τα συμπτώματα της MPS IVA.

Η elosulfase alfa παράγεται με μια μέθοδο γνωστή ως «τεχνολογία ανασυνδυασμένου DNA»: δηλαδή από κύτταρα στα οποία έχει ενσωματωθεί ένα γονίδιο (DNA) που επιτρέπει την παραγωγή του ενζύμου.

Ποια είναι τα οφέλη του Vimizim σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Vimizim συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) σε μία βασική μελέτη, στην οποία μετείχαν 176 ασθενείς που έπασχαν από MPS IVA. Ο κύριος δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η αλλαγή στην απόσταση που μπορούσαν να διανύσουν οι ασθενείς σε χρονικό διάστημα έξι λεπτών μετά από 6 μήνες θεραπείας.

Πριν από τη θεραπεία, οι ασθενείς μπορούσαν να διανύσουν κατά μέσο όρο 200 μέτρα σε έξι λεπτά. Μετά από 6 μήνες, οι ασθενείς που έλαβαν Vimizim στη συνιστώμενη δόση μπορούσαν να διανύσουν κατά μέσο όρο 37 μέτρα περισσότερα σε έξι λεπτά, σε σύγκριση με τους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο οι οποίοι παρουσίασαν αύξηση της απόστασης βάρδισης κατά 14 μέτρα. Τα αποτελέσματα της μελέτης έδειξαν, επίσης, ότι το φάρμακο βελτιώνει την αναπνοή των ασθενών και την ανάβασή τους σε σκαλιά, καθώς και την ανάπτυξη των παιδιών.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Vimizim;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Vimizim (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι αντιδράσεις σχετιζόμενες με την έγχυση, μεταξύ των οποίων κεφαλαλγία, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), έμετος, πυρετός, ρίγη και κοιλιακοί πόνοι (πόννοι στο στομάχι). Οι εν λόγω ανεπιθύμητες ενέργειες είναι συνήθως ήπιες έως μέτριες και συχνότερες κατά τις πρώτες 12 εβδομάδες της θεραπείας. Στις σοβαρές αλλά μη συχνές αντιδράσεις σχετιζόμενες με την έγχυση περιλαμβάνεται η αναφυλαξία (σοβαρή αλλεργική αντίδραση). Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Vimizim περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Vimizim δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που έχουν βιώσει απειλητικές για τη ζωή αλλεργικές αντιδράσεις στην elosulfase alfa ή σε οποιοδήποτε άλλο από τα συστατικά του φαρμάκου.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Vimizim;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού έκρινε ότι τα οφέλη του Vimizim υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ. Η CHMP κατέληξε στο συμπέρασμα ότι, μετά από 6 μήνες θεραπείας, το Vimizim αποδείχθηκε αποτελεσματικό στη βελτίωση της απόστασης που μπορούν να διανύσουν οι ασθενείς σε έξι λεπτά. Επιπλέον, καταδείχθηκαν και άλλες θετικές επιδράσεις του φαρμάκου, όπως η βελτίωση στην ικανότητα εκτέλεσης καθημερινών δραστηριοτήτων. Επίσης, η επιτροπή έκρινε ότι η εικόνα ασφάλειας

του Vimizim φαίνεται διαχειρίσιμη, οι δε σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες δεν είναι συχνές. Παρ' όλα αυτά, πρόκειται να συλλεχθούν περαιτέρω δεδομένα σχετικά με τη μακροχρόνια ασφάλεια.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Vimizim;

Καταρτίστηκε σχέδιο διαχείρισης κινδύνου προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το Vimizim χρησιμοποιείται με τον ασφαλέστερο δυνατό τρόπο. Βάσει του σχεδίου αυτού, στην περίληψη χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του Vimizim συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια καθώς και τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς.

Επιπλέον, η παρασκευάστρια εταιρεία του Vimizim πρέπει να διασφαλίσει ότι όλοι οι επαγγελματίες του τομέα της υγείας που πρόκειται να συνταγογραφήσουν ή να χρησιμοποιήσουν το φάρμακο έχουν λάβει εκπαιδευτικό υλικό με πληροφορίες σχετικά με τον τρόπο χρήσης του φαρμάκου και τον κίνδυνο σοβαρών αλλεργικών αντιδράσεων. Η εταιρεία θα καταρτίσει, επίσης, μητρώο για την εκτίμηση των μακροχρόνιων οφελών και κινδύνων του Vimizim.

Περισσότερες πληροφορίες περιλαμβάνονται στην [περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου](#).

Λοιπές πληροφορίες για το Vimizim

Στις 28 Απριλίου 2014 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Vimizim.

Η πλήρης EPAR και η περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου του Vimizim διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Vimizim, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Vimizim διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 04-2014.