



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumen del EPAR para el público general

Vimizim

elosulfasa alfa

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Vimizim. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a su autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Vimizim.

Para más información sobre el tratamiento con Vimizim, el paciente deberá leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Vimizim y para qué se utiliza?

Vimizim es un medicamento que contiene el principio activo elosulfasa alfa. Está indicado para tratar pacientes con mucopolisacaridosis tipo IVA (MPS IVA, también conocida como síndrome de Morquio A). La enfermedad está causada por la falta de una enzima denominada N-acetilgalactosamina-6-sulfatasa, que es necesaria para descomponer unas sustancias específicas en el organismo llamadas glucosaminoglucanos (GAG). Si la enzima no está presente, o lo está solo en cantidades muy pequeñas, los GAG no pueden ser degradados y se acumulan en huesos y órganos. Esto provoca los signos de la enfermedad, fundamentalmente huesos cortos, dificultad de movimiento, problemas para respirar, opacidad de los ojos y pérdida de audición.

Dado que el número de pacientes afectados por MPS IVA es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Vimizim fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 24 de julio de 2009.

¿Cómo se usa Vimizim?

El tratamiento con Vimizim debe estar supervisado por un médico con experiencia en MPS IVA o enfermedades similares. Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y deberá prescribirlo un profesional sanitario adecuadamente capacitado.



Vimizim se presenta como concentrado para la preparación de una solución para infusión (goteo) intravenosa. La dosis recomendada es de 2 mg por kilogramo de peso corporal, administrada una vez por semana. La infusión debe durar unas 4 horas. Antes de recibir Vimizim, se debe administrar al paciente un medicamento para prevenir una reacción alérgica a Vimizim. A los pacientes se les puede también administrar un medicamento para prevenir la fiebre.

¿Cómo actúa Vimizim?

Vimizim es una terapia enzimática sustitutiva. La terapia enzimática sustitutiva suministra a los pacientes la enzima que les falta. El principio activo de Vimizim, elosulfasa alfa, es una copia de la enzima humana N-acetilgalactosamina-6-sulfatasa. La enzima sustitutiva ayuda a degradar los GAG e impide que se acumulen en las células, lo que mejora los síntomas de la MPS IVA.

La elosulfasa alfa se produce mediante un método conocido como «tecnología de ADN recombinante»: la fabrican células a las que se ha implantado un gen (ADN) que las capacita para producir la enzima.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Vimizim en los estudios realizados?

Vimizim se ha investigado en un estudio principal en el que participaron 176 pacientes con MPS IVA, en el cual se comparó Vimizim con placebo (un tratamiento simulado). La medida principal de eficacia fue el cambio en la distancia que los pacientes podían caminar en 6 minutos, tras 6 meses de tratamiento.

Antes del tratamiento, los pacientes podían caminar, por término medio, poco más de 200 metros en 6 minutos. Después de 6 meses, los pacientes tratados con la dosis recomendada de Vimizim podían caminar, por término medio, 37 metros más en 6 minutos, comparado con un incremento de 14 metros en los pacientes que recibieron placebo. Los resultados de los estudios indicaron también que el medicamento podía mejorar la capacidad de respirar o subir escaleras de los pacientes y el crecimiento en niños.

¿Cuál es el riesgo asociado a Vimizim?

Los efectos adversos más frecuentes de Vimizim (observados en más de un paciente de cada 10) son reacciones a la infusión, incluidos dolor de cabeza, náuseas, vómitos, fiebre, escalofríos y dolor de estómago. Por lo general, son de intensidad leve o moderada, y más frecuentes en las primeras 12 semanas de tratamiento. La reacción grave, aunque infrecuente, a la infusión es la anafilaxia (reacción alérgica grave). Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Vimizim, ver el prospecto.

Vimizim no debe utilizarse en pacientes que hayan sufrido reacciones alérgicas potencialmente mortales a elosulfasa alfa o a cualquiera de los componentes de Vimizim.

¿Por qué se ha aprobado Vimizim?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Vimizim son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE. El CHMP concluyó que, tras 6 meses de tratamiento, Vimizim demostró ser eficaz para mejorar la distancia que los pacientes podían caminar en 6 minutos, lo que se acompañaba de otros efectos, incluida la mejora de la capacidad para realizar las actividades de la vida diaria. El comité también consideró que el perfil de seguridad de Vimizim es aceptable y que los efectos adversos graves son infrecuentes, aunque debe obtenerse más información sobre la seguridad a largo plazo.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Vimizim?

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Vimizim se administra de una forma lo más segura posible. Basándose en este plan, se ha incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Vimizim la información sobre seguridad que incluye las precauciones pertinentes que deben adoptar los profesionales sanitarios y los pacientes.

Además, la empresa que fabrica Vimizim debe garantizar que todos los profesionales sanitarios que puedan prescribir el medicamento reciban material formativo en el que se explique la forma en que debe utilizarse el medicamento y el riesgo de reacciones alérgicas graves. La empresa también creará un registro para evaluar los riesgos y beneficios de Vimizim a largo plazo.

Encontrará más información en el [resumen del plan de gestión de riesgos](#).

Otras informaciones sobre Vimizim

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Anoro el 28 de abril de 2014.

El EPAR completo y el resumen del plan de gestión de riesgos de Vimizim pueden consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mayor información sobre el tratamiento con Vimizim, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte con su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Vimizim puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 04-2014.