



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kokkuvõte üldsusele

---

# Vimizim

## alfaelosulfaas

See on ravimi Vimizim Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloa andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Vimizimi kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Vimizimi kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

### Mis on Vimizim ja milleks seda kasutatakse?

Vimizim on ravim, mis sisaldab toimeainena alfaelosulfaasi. Seda kasutatakse IVA-tüüpi mukopolüsahharidoosiga (MPS IVA, tuntud ka nimetusega Morquio A sündroom) patsientide raviks. Nimetatud haigus on tingitud organismis glükosaminoglükaanide (GAG) lagundamiseks vajaliku ensüümi N-atsetüülglalaktosamiin-6-sulfataasi puudusest. Kui ensüümi ei ole või seda on väga väikestes kogustes, glükosaminoglükaane ei lagundata ning need akumuleeruvad luudes ja organites. See põhjustab haigusnähte, millest kõige märgatavamad on lühikesed luud, liikumis- ja hingamisraskused, silmade hägusus ja kuulmise kadumine.

Et IVA-tüüpi mukopolüsahharidoosiga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Vimizim 24. juulil 2009 harvikravimiks.

### Kuidas Vimizimi kasutatakse?

Ravi Vimizimiga peab jälgima arst, kellel on kogemusi IVA-tüüpi mukopolüsahharidoosi või sarnaste haiguste ravis. Vimizim on retseptiravim ja seda tohib manustada ainult asjakohase väljaõppega tervishoiutöötaja.

Vimizimi turustatakse kontsentratsioonina, millest valmistatakse infusioonilahus veeni tilgutamiseks. Soovitatav annus on 2 mg kehakaalu kilogrammi kohta, mis manustatakse üks kord nädalas. Infusioon peab kestma umbes 4 tundi. Enne kui patsient saab Vimizimi, tuleb talle manustada ravimit Vimizimi-vastase allergilise reaktsiooni ennetamiseks. Patsientidele võib anda ka palavikuvastast ravimit.

---

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



## **Kuidas Vimizim toimib?**

Vimizim on ensüümasendusravi ravim. Ensüümasendusravi annab patsientidele puuduvad ensüümid. Vimizimi toimeaine alfaelosulfaas on inimese ensüümi N-atsetüülgalaktoosamiin-6-sulfataasi koopia. Asendusensüüm aitab lagundada glükosaminoglükaane ja peatada nende akumulereerumist rakkudes, leevendades nii IVA-tüüpi mukopolüsahharidoosi sümptomeid.

Alfaelosulfaasi valmistatakse rekombinant-DNA-tehnika abil: seda toodavad rakud, millesse on viidud ensüümi teket võimaldav geen (DNA).

## **Milles seisneb uuringute põhjal Vimizimi kasulikkus?**

Vimizimi on uuritud ühes põhiuuringus, kuhu kaasati 176 IVA-tüüpi mukopolüsahharidoosiga patsienti ning kus Vimizimi võrreldi platseeboga (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli vahemaa, mille patsiendid suutsid pärast 6-kuulist ravi 6 minuti jooksul läbida.

Enne ravi suutsid patsiendid käia 6 minuti jooksul keskmiselt veidi üle 200 meetri. 6 kuu pärast suutsid Vimizimi soovitatava annusega ravitud patsiendid 6 minutiga käia keskmiselt 37 meetrit rohkem ja platseebot saanud patsiendid 14 meetrit rohkem. Uuringutulemused tõid esile ka selle, et ravim parandas patsientide hingamist või treppidest ülesminekut ning laste puhul ka nende kasvamist.

## **Mis riskid Vimizimiga kaasnevad?**

Vimizimi kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on infusioonireaktsioonid, sealhulgas peavalu, iiveldus (süda on paha), oksendamine, palavik, külmavärinad ja kõhuvalu. Need kõrvalnähud on enamasti kerged või möödukad ja esinevad sagedamini esimese 12 ravinädala jooksul. Raskete, kuid harvaesinevate infusioonireaktsioonide hulka kuulub anafülaksia (raske allergiline reaktsioon). Vimizimi kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Vimizimi ei tohi kasutada patsientidel, kel on olnud eluohtlikke allergilisi reaktsioone alfaelosulfaasi või Vimizimi mis tahes muu koostisaine suhtes.

## **Miks Vimizim heaks kiideti?**

Inimravimite komitee otsustas, et Vimizimi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita. Inimravimite komitee leidis, et pärast 6-kuulist ravi osutus Vimizim efektiivseks, suurendades vahemaad, mille patsiendid suutsid 6 minutiga läbida, ning sellega kaasnes muid kasulikke mõjusid, sealhulgas paranenud suutlikkus igapäevatoimingute tegemisel. Samuti leidis komitee, et Vimizimi ohutusprofiil näib olevat kontrollitav ja rasked kõrvalnähud on harvaesinevad, kuid edasi tuleb koguda pikaajalisi ohutusandmeid.

## **Mis meetmed võetakse, et tagada Vimizimi ohutu ja efektiivne kasutamine?**

Töötati välja riskijuhtimiskava, et tagada Vimizimi võimalikult ohutu kasutamine. Selle alusel lisati Vimizimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele ravimi ohutusteave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavad meetmed.

Lisaks peab Vimizimi valmistav ettevõtte tagama, et kõik tervishoiuspetsialistid, kes hakkavad eeldatavasti Vimizimi välja kirjutama või kasutama, varustatakse teabematerjalidega, milles neid teavitatakse ravimi kasutamisest ja raskete allergiliste reaktsioonide riskist. Ettevõtte loob ka registri Vimizimi pikaajalise kasulikkuse ja riskide hindamiseks.

Lisateave on [riskijuhtimiskava kokkuvõttes](#).

## Muu teave Vimizimi kohta

Euroopa Komisjon andis Vimizimi müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 28. aprillil 2014.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst ja riskijuhtimiskava kokkuvõte Vimizimi kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Kui vajate Vimizimiga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Vimizimi kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 04-2014.