



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Vimizim

elosulfaasi alfa

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Vimizim-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Vimizimin käytöstä.

Potilas saa Vimizimin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Vimizim on ja mihin sitä käytetään?

Vimizim on lääke, jonka vaikuttava aine on elosulfaasi alfa. Sitä käytetään tyyppin IVA mukopolysakkaridoosia (MPS IVA, Morquion oireyhtymä A) sairastavien potilaiden hoitoon. Tautia sairastavilta puuttuu N-asetyyligalaktoosi amiini-6-sulfataasia, entsyymiä, joka hajottaa elimistössä niin kutsuttuja glykosaminoglykaaneja (GAG:t). Jos entsyymi puuttuu kokonaan tai sitä on vain vähän, GAG:t eivät hajoa ja niitä kertyy luihin ja elimiin. Tämä aiheuttaa taudin oireita, joista näkyvimpiä ovat lyhytkasvuisuus, vaikeudet kävellä ja hengittää, silmien samentuminen ja kuulon menetys.

Koska MPS IVA:ta sairastavia potilaita on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi; Vimizim nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 24. heinäkuuta 2009.

Miten Vimizimiä käytetään?

Vimizim-hoidon tulee tapahtua MPS IVA:n tai muiden vastaavien tautien hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa. Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja sitä saa antaa vain asianmukaisen koulutuksen saanut terveydenhoidon ammattilainen.

Vimizimiä on saatavana konsentraattina, josta valmistetaan liuos infuusiota (suonensisäistä tiputusta) varten. Suositeltu annos on 2 mg painokiloa kohti annettuna kerran viikossa. Infuusio tulisi antaa noin neljän tunnin aikana. Ennen kuin potilaille annetaan Vimizimiä, heille tulisi antaa lääkettä allergisen reaktion ehkäisemiseksi. Potilaille voidaan myös antaa lääkettä kuumeen ehkäisemiseksi.



Miten Vimizim vaikuttaa?

Vimizim on entsyymien korvaushoito. Entsyymien korvaushoito antaa potilaalle häneltä puuttuvaa entsyymiä. Vimizimin vaikuttava aine, elosulfaasi alfa, on kopio ihmisen entsyymistä N-asetyyli-galaktoosi-amiini-6-sulfataasi. Korvausentsyymi auttaa hajottamaan GAG:ita ja estää niitä kertymästä soluihin parantaen siten MPS IVA:n oireita.

Elosulfaasi alfaa valmistetaan ns. yhdistelmä-DNA-tekniikalla: sitä valmistavat solut, joihin on lisätty entsyymien tuottamisen mahdollistava geeni (DNA).

Mitä hyötyä Vimizimistä on havaittu tutkimuksissa?

Vimizimiä on tutkittu yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 176 MPS IVA:ta sairastavaa potilasta ja jossa Vimizimiä verrattiin lumelääkkeeseen. Pääasiallinen tehon mittari oli muutos etäisyydessä, jonka potilaat pystyivät kävelemään kuudessa minuutissa kuuden hoitokuukauden jälkeen.

Ennen hoitoa potilaat pystyivät kävelemään keskimäärin vain vähän yli 200 metriä kuudessa minuutissa. Kuuden kuukauden jälkeen potilaat, jotka olivat saaneet suositusannoksen Vimizimiä, pystyivät kävelemään keskimäärin 37 metriä enemmän kuudessa minuutissa, kun lumelääkettä saaneilla etäisyys oli kasvanut 14 metriä. Tutkimuksen tulokset antoivat myös merkkejä siitä, että lääke saattaa parantaa potilaiden kykyä hengittää tai kiivetä portaita, sekä lapsilla lisätä pituuskasvua.

Mitä riskejä Vimizimiin liittyy?

Vimizimin yleisimmät sivuvaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat infuusioreaktion oireet, kuten päänsärky, pahoinvointi, oksentelu, kuume, vilunväreet ja vatsakipu. Nämä oireet ovat yleensä vakavuudeltaan lievistä kohtalaiseen ja yleisempiä hoidon ensimmäisten 12 viikon aikana. Vakavia mutta harvinaisia reaktioita ovat muun muassa anafylaksia (vakava allerginen reaktio). Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Vimizimin ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Vimizimiä ei saa antaa potilaille, jotka ovat saaneet hengenvaarallisia allergisia reaktioita elosulfaasi alfasta tai jostakin muusta Vimizimin sisältämästä aineesta.

Miksi Vimizim on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Vimizimin hyöty on sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa. Lääkevalmistekomitea totesi, että kuuden hoitokuukauden jälkeen Vimizim oli todistetusti pidentänyt etäisyyttä, jonka potilaat pystyivät kävelemään kuudessa minuutissa, ja lääkkeellä oli muitakin hyödyllisiä vaikutuksia, se muun muassa paransi kykyä suoriutua päivittäisistä toiminnoista. Lääkevalmistekomitea myös katsoi, että Vimizimin turvallisuusprofiili on hallittavissa ja vakavat sivuvaikutukset ovat harvinaisia, mutta lääkevalmisteesta on kerättävä lisää pitkän aikavälin turvallisuustietoja.

Miten voidaan varmistaa Vimizimin turvallinen ja tehokas käyttö?

Vimizimin mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on laadittu riskinhallintasuunnitelma. Tämän suunnitelman mukaiset turvallisuustiedot on liitetty Vimizimin valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen, mukaan lukien tiedot asianmukaisista varotoimista terveydenhoidon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi.

Vimizimiä valmistavan yhtiön on lisäksi varmistettava, että kaikille terveydenhoidon ammattilaisille, jotka voivat määrätä tai käyttää kyseistä lääkevalmistetta, toimitetaan koulutusmateriaali, jossa

kerrotaan lääkevalmisteen käytöstä ja vakavien allergisten reaktioiden riskistä. Yhtiö perustaa myös rekisterin Vimizimin pitkäaikaisten hyötyjen ja riskien arvioimiseksi.

Lisätietoja löytyy [riskinhallintasuunnitelman yhteenvedosta](#).

Muita tietoja Vimizimistä

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Vimizimiä varten 28. huhtikuuta 2014.

Vimizimiä koskeva EPAR-arviointilausunto kokonaisuudessaan sekä riskinhallintasuunnitelman yhteenveto ovat viraston verkkosivustolla osoitteessa: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisää tietoa Vimizimillä annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Vimizimiä koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Tätä yhteenvetoa on päivitetty viimeksi 04-2014.