



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Vimizim

elosulfaza alfa

Ovo je sažetak Europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) za lijek Vimizim. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o korištenju lijeka Vimizim.

Praktične informacije o korištenju lijeka Vimizim pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Što je Vimizim i za što se koristi?

Vimizim je lijek koji sadrži djelatnu tvar elosulfaza alfa. Koristi se za liječenje bolesnika oboljelih od mukopolisaharidoze tip IV A (MPS IVA, poznat također pod nazivom Morquiov A sindrom). Ovu bolest uzrokuje manjak enzima naziva N-acetilgalaktozamin-6-sulfataza, koji je potreban za razgradnju tvari u tijelu naziva glikozaminoglikani (GAG-ovi). Ako enzimi nisu prisutni ili ako su prisutni u samo malim količinama, GAG-ovi se ne mogu razgraditi te se nakupljaju u kostima i organima. Ovo uzrokuje znakove bolesti, a najočitiji znakovi su kratke kosti, poteškoće u kretanju i disanju, magljenje pred očima i gubitak sluha.

Budući da je broj bolesnika sa sindromom MPS IVA nizak, dotična se bolest smatra „rijetkom“ te se Vimizim označava kao lijek za liječenje rijetkih bolesti od 24. srpnja 2009.

Kako se Vimizim koristi?

Liječenje lijekom Vimizim mora nadzirati liječnik iskusan u liječenju bolesnika sa sindromom MPS IVA ili drugim sličnim bolestima. Ovaj se lijek izdaje samo na liječnički recept te ga mora davati zdravstveni djelatnik odgovarajuće educiran za zbrinjavanje hitnih stanja.

Vimizim je dostupan kao koncentrat za pripremu otopine za infuziju (drip) u venu. Preporučena doza je 2 mg po kilogramu, jednom tjedno. Infuzija treba trajati oko 4 sata. Prije primanja lijeka Vimizim, bolesnik mora primiti lijek radi sprečavanja alergijske reakcije na Vimizim. Bolesnici mogu također primiti lijek za sprečavanje groznice.



Kako djeluje Vimizim?

Vimizim je enzimski zamjenski terapija. Enzimski zamjenski terapija pruža bolesnicima enzim koji im nedostaje. Djelatna tvar u lijeku Vimizim, elosulfaza alfa, kopija je ljudskog enzima N-acetilgalaktozamina-6-sulfataze. Zamjenski enzim pomaže pri razgradnji GAG-ova i zaustavlja nakupljanje u stanicama, te stoga poboljšava simptome MPS IVA.

Elosulfaza alfa proizvodi se metodom poznatom pod nazivom „tehnologija rekombinantne DNK“: proizvode ga stanice u koje je umetnut gen (DNK), što omogućuje proizvodnju enzima.

Koje su koristi lijeka Vimizim dokazane u ispitivanjima?

Vimizim je ispitan u jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 176 bolesnika oboljelih od MPS IVA, u kojem je lijek Vimizim uspoređen s placebom (lažnim liječenjem). Glavna mjera djelotvornosti bila je promjena u udaljenosti koju su bolesnici mogli prijeći nakon 6 mjeseci liječenja.

Prije liječenja, bolesnici su mogli hodati prosječno nešto više od 200 metara u šest minuta. Nakon 6 mjeseci, bolesnici liječeni preporučenom dozom lijeka Vimizim mogli su prijeći dodatnih 37 metara prosječno u šest minuta u usporedbi s 14 metara u bolesnika koji su primali placebo. Rezultati ispitivanja također ukazuju da bi lijek mogao poboljšati disanje u bolesnika ili sposobnost uspinjanja stepenicama, te kvalitetu razvoja u djece.

Koji su rizici povezani s lijekom Vimizim?

Najčešće nuspojave lijeka Vimizim (kod više od 1 na 10 osoba) su reakcije povezane s infuzijom, uključujući glavobolju, mučninu (osjećaj slabosti), povraćanje, groznicu, drhtavicu i abdominalnu bol (bol u truhu). Ove su nuspojave najčešće blage i češće se u prvih 12 tjedana liječenja. Ozbiljne, ali manje česte reakcije, povezane s infuzijom uključuju anafilaksu (ozbiljnu alergijsku reakciju). Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Vimizim potražite u uputi o lijeku.

Vimizim se ne smije koristiti u bolesnika kod kojih su se manifestirale po život opasne alergijske reakcije na elosulfazu alfa ili na bilo koju drugu pomoćnu tvar lijeka Vimizim.

Zašto je Vimizim odobren?

Povjerenstvo za lijekove za primjenu kod ljudi (CHMP) pri Agenciji odlučilo je da koristi od lijeka Vimizim nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučilo njegovo odobrenje za korištenje u Europskoj uniji. CHMP je zaključio da se 6 mjeseci nakon liječenja Vimizim pokazao djelotvornim u povećanju udaljenosti koju su bolesnici mogli prehodati u šest minuta, a to je popraćeno drugim koristima, uključujući i poboljšavanje sposobnosti obavljanja svakodnevnih aktivnosti. Povjerenstvo je također zaključilo da se sigurnosni profil lijeka Vimizim čini upravljivim te da su ozbiljne nuspojave neuobičajene, no treba prikupiti daljnje dugoročne podatke o sigurnoj primjeni.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Vimizim?

Pripremljen je plan upravljanja rizikom kako bi se osigurala što sigurnija primjena lijeka Vimizim. Na temelju tog plana u sažetak opisa svojstava lijeka kao i u uputu o lijeku, za lijek Vimizim uključene su sigurnosne informacije, uključujući odgovarajuće mjere opreza kojih se zdravstveni djelatnici i bolesnici trebaju primjenjivati.

Nadalje, proizvođač lijeka Vimizim mora osigurati da svi liječnici za koje se očekuje da će propisivati ili koristiti lijek prime edukacijski materijal u kojem ih se obavještava o načinu primjene lijeka kao i riziku

od teških alergijskih reakcija. Tvrtka je dužna također voditi registar za ocjenu dugoročnih koristi i rizika lijeka Vimizim.

Dodatne informacije možete pronaći u [sažetku plana upravljanja rizikom](#).

Ostale informacije o lijeku Vimizim

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje za lijek Vimizim vrijedi na prostoru Europske unije od 28. travnja 2014.

Cjelovito Europsko javno izvješće o ocjeni dokumentacije o lijeku (EPAR) za lijek Vimizim nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o terapiji lijekom Vimizim pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Povjerenstva za lijekove za rijetke i teške bolesti o lijeku Vimizim možete naći na internetskim stranicama Agencije: : [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Sažetak je posljednji put ažuriran: 04. 2014.