



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Vimizim

eloszulfáz alfa

Ez a dokumentum a Vimizim-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Vimizim alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Vimizim alkalmazásával kapcsolatos gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez!

Milyen típusú gyógyszer a Vimizim és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Vimizim olyan gyógyszer, amely hatóanyagként eloszulfáz alfát tartalmaz. A IV/A típusú mukopoliszacharidózisban (MPS IV/A, más néven Morquio A szindróma) szenvedő betegek kezelésére használják. Ezt a betegséget az úgynevezett N-acetilgalaktózamin-6-szulfatáz enzim hiánya okozza, amely a glukózaminoglikánok lebontásához szükséges a szervezetben. Ha az enzim hiányzik vagy csak nagyon kis mennyiségben van jelen, a glukózaminoglikánok nem tudnak lebomlani, és felhalmozódnak a csontokban és szervekben. Ez okozza a betegség tüneteit, a legszembetűnőbbek ezek között a rövid csontok, a mozgási és légzési nehezítettség, a szemlencse-homály és a hallásvesztés.

Mivel az MPS IV/A-ban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Vimizim-et 2009. július 24-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

Hogyan kell alkalmazni a Vimizim-et?

A Vimizim kezelést az MPS IV/A szindrómában vagy hasonló betegségekben jártas orvosnak kell felügyelnie. A gyógyszer csak receptre kapható, és csak megfelelően képzett egészségügyi szakember adhatja be.

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



A Vimizim vénába adandó oldatos infúzióhoz való koncentrátum formájában kapható. A javasolt dózis 2 mg/testtömeg-kilogramm, hetente egyszer. Az infúziót körülbelül 4 óra alatt kell beadni. A Vimizim beadása előtt gyógyszert kell adni a betegnek a Vimizim-re kialakuló allergiás reakció megelőzésére. A betegek a láz megelőzésére is kaphatnak gyógyszert.

Hogyan fejtí ki hatását a Vimizim?

A Vimizim egy enzimpótló kezelés. Az enzimpótló kezelés ellátja a beteget a hiányzó enzimmel. A Vimizim hatóanyaga, az eloszulfáz alfa, a humán N-acetilgalaktózamin-6-szulfatáz enzim másolata. A pótoló enzim elősegíti a glukózaminoglikánok lebontását, és megállítja azok felhalmozódását a sejtekben, ezáltal javítja az MPS IV/A tüneteit.

Az eloszulfáz alfát az úgynevezett „rekombináns DNS technikával” állítják elő: sejtek termelik, amelyekbe egy olyan gént (DNS-t) építettek be, amely képessé teszi azokat az enzim termelésére.

Milyen előnyei voltak a Vimizim alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Vimizim-et egy fő vizsgálatban tanulmányozták 176, MPS IV/A betegségben szenvedő beteg részvételével, amelyben a Vimizim-et placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze. A hatékonyság fő mértéke 6 hónapos kezelést követően annak a távolságnak a változása volt, amelyet a betegek 6 perc alatt képesek voltak megtenni.

A kezelés előtt a betegek 6 perc alatt átlagosan alig több mint 200 métert tudtak megtenni. Hat hónap múlva a Vimizim javasolt adagjával kezelt betegek átlagosan további 37 métert tudtak megtenni 6 perc alatt, míg a placebót kapó betegek esetén ez a távolság 14 méter volt. A vizsgálati eredmények arra is utaltak, hogy a gyógyszer javíthatta a betegek légzését vagy lépcsőzési képességét, valamint gyermekek esetében a növekedést.

Milyen kockázatokkal jár a Vimizim alkalmazása?

A Vimizim alkalmazása során a leggyakoribb mellékhatások (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az infúzióval kapcsolatos mellékhatások, például fejfájás, hányinger, hányás, láz, hidegrázás és hasi fájdalom voltak. Ezek általában enyhék vagy közepesen súlyosak, és gyakoribbak a kezelés első 12 hetében. A súlyos, de nem gyakori, infúzióval kapcsolatos reakciók közé tartozik az anafilaxia (súlyos allergiás reakció). A Vimizim alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolását lásd a betegtájékoztatóban!

A Vimizim nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknél korábban életveszélyes allergiás reakció lépett fel az eloszulfáz alfa vagy a Vimizim bármely más összetevője ellen.

Miért engedélyezték a Vimizim forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Vimizim alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását. A CHMP arra a következtetésre jutott, hogy 6 hónapos kezelést követően a Vimizim igazoltan hatékony a beteg által 6 perc alatt megtett távolság javításában, és ezt egyéb előnyös hatások is kísérték, például a napi tevékenységek elvégzésére való képesség javulása. A bizottság ezenfelül úgy vélte, hogy a Vimizim biztonságossági profilja kezelhetőnek tűnik, és a súlyos mellékhatások nem gyakoriak, azonban további hosszú távú biztonságossági adatokat kell gyűjteni.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Vimizim biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Vimizim lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Vimizim-re vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

Ezenfelül a Vimizim-et gyártó vállalat köteles biztosítani, hogy oktatási anyaggal lássanak el minden egészségügyi szakembert, aki a gyógyszert várhatóan rendelni, illetve alkalmazni fogja, amelyben tájékoztatja őket a gyógyszer alkalmazásának módjáról és a súlyos allergiás reakciókról. Továbbá a vállalat létre fog hozni egy nyilvántartást a Vimizim hosszú távú előnyeinek és kockázatainak értékelése céljából.

További információ a [kockázatkezelési terv összefoglalójában](#) található.

A Vimizim-mel kapcsolatos egyéb információ

2014. április 28-án az Európai Bizottság a Vimizim-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Vimizim-re vonatkozó teljes EPAR és kockázatkezelési terv összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports. Amennyiben a Vimizim-mel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez!

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Vimizim-re vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare/disease_designation.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 04.2014.