



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Vimizim

elosulfazė alfa

Šis dokumentas yra Vimizim Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Vimizim.

Praktinės informacijos apie Vimizim vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Vimizim ir kam jis vartojamas?

Vimizim – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos elosulfazės alfa. Juo gydomi pacientai, sergantys IVA tipo mukopolisacharidoze (MPS IVA), dar vadinama Morkvio (*Morquio*) A sindromu. Šią ligą sukelia fermento, vadinamo N-acetilgalaktozamino-6-sulfataze, kuris reikalingas tam, kad organizme skaidytųsi medžiagos, vadinamos gliukozaminoglikanais (GAG), trūkumas. Jeigu organizme šio fermento nėra arba jo kiekis labai nedidelis, GAG yra neskaidomi ir kaupiasi kauluose ir organuose. Tai sukelia ligos požymius, iš kurių labiausiai pastebimi – trumpi kaulai, judėjimo ir kvėpavimo sunkumai, miglotas regėjimas ir kurtumas.

Kadangi MPS IVA sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta, ir 2009 m. liepos 24 d. Vimizim buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Kaip vartoti Vimizim?

Gydymą Vimizim turi prižiūrėti gydytojas, turintis su MPS IVA ar panašiomis ligomis susijusios patirties. Vaisto galima įsigyti tik pateiktus receptą, o jį suleisti gali tik tinkamai išmokyti sveikatos priežiūros specialistai.

Vimizim tiekiamas koncentrato, iš kurio ruošiamas infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas, forma. Rekomenduojama kartą per savaitę sulašinti po 2 mg vaisto/kg kūno svorio. Vaistą reikia lašinti maždaug 4 valandas. Prieš lašinant Vimizim, pacientui reikia duoti vaisto, kuris padėtų išvengti



alerginės reakcijos į Vimizim. Taip pat pacientams galima duoti vaisto, kuris apsaugotų nuo karščiavimo.

Kaip veikia Vimizim?

Vimizim yra pakaitinei fermentų terapijai skirtas vaistas. Taikant pakaitinę fermentų terapiją, pacientai gauna fermento, kurio jiems trūksta. Veiklioji Vimizim medžiaga elosulfazė alfa yra žmogaus fermento N-acetilgalaktozamino-6-sulfatazės kopija. Pakaitinis fermentas padeda suskaidyti GAG ir neleidžia jiems kauptis ląstelėse, taip palengvindamas MPS IVA simptomus.

Elosulfazė alfa gaminama vadinamuoju rekombinantinės DNR technologijos būdu: ją gamina ląstelės, kurioms buvo implantuotas šio fermento gamybą užtikrinantis genas (DNR).

Kokia Vimizim nauda nustatyta tyrimuose?

Vimizim buvo tiriamas atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 176 MPS IVA sergantys pacientai; šio tyrimo metu Vimizim buvo lyginamas su placebo (netikru vaistu). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo atstumo, kurį pacientai galėjo nueiti per šešias minutes po 6 gydymo mėnesių, pokytis.

Prieš gydymą pacientai per šešias minutes galėjo nueiti vidutiniškai šiek tiek daugiau nei 200 metrų. Po 6 mėnesių rekomenduojama Vimizim doze gydyti pacientai galėjo papildomai nueiti vidutiniškai 37 metrus, o placebo vartoję pacientai – 14 metrų. Taip pat tyrimo rezultatai leido manyti, kad vaistas gali palengvinti pacientų kvėpavimą arba padidinti jų pajėgumą lipant laiptais bei pagerinti vaikų augimą.

Kokia rizika siejama su Vimizim vartojimu?

Dažniausi Vimizim šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra su infuzija susijusios reakcijos, įskaitant galvos skausmą, pykinimą (šleikštulį), vėmimą, karščiavimą, šaltkrėtį ir pilvo (skrandžio) skausmą. Paprastai jie yra lengvi arba vidutinio sunkumo ir dažniau pasireiškia pirmas 12 gydymo savaitių. Prie sunkių, bet ne dažnų su infuzija susijusių reakcijų priskiriama anafilaksija (sunki alerginė reakcija). Išsamų visų šalutinių reiškinų, apie kuriuos pranešta gydant Vimizim, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Vimizim negalima vartoti pacientams, kuriems praeityje pasireiškė gyvybei pavojingos alerginės reakcijos į alosulfazę alfa arba pagalbines Vimizim medžiagas.

Kodėl Vimizim patvirtintas?

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Vimizim nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES. CHMP priėjo prie išvados, jog po 6 gydymo mėnesių buvo įrodyta, kad Vimizim yra veiksmingas siekiant pailginti atstumą, kurį pacientai sugebėtų nueiti per šešias minutes, be to, turėjo kitokį naudingą poveikį pacientams, pvz., pagerino jų gebėjimą atlikti kasdienes darbus. Komitetas taip pat laikėsi nuomonės, kad Vimizim saugumo charakteristikas galima valdyti, o jo sukeliama rimti šalutiniai reiškiniai nėra dažni, tačiau reikia surinkti daugiau ilgalaikio saugumo duomenų.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Vimizim vartojimą?

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Vimizim vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Vimizim preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Be to, Vimizim gaminanti bendrovė privalo užtikrinti, kad visi sveikatos priežiūros specialistai, kurie galbūt turės išrašyti Vimizim receptą arba šiuo vaistu gydyti savo pacientus, gautų šviečiamąją medžiagą, kurioje būtų pateikta informacija apie tai, kaip reikia vartoti šį vaistą, ir apie rimtų alerginių reakcijų pavojų. Bendrovė taip pat sukurs registrą, kad galėtų įvertinti ilgalaikę Vimizim naudą ir riziką.

Išsamesnę informaciją galima rasti [rizikos valdymo plano santraukoje](#).

Kita informacija apie Vimizim

Europos Komisija 2014 m. balandžio 28 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Vimizim rinkodaros leidimą.

Išsamų Vimizim EPAR ir rizikos valdymo plano santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Daugiau informacijos apie gydymą Vimizim rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Vimizim santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: : [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2014-04.