



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Vimizim

alfa elosulfāze

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Vimizim*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir novērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu tās reģistrēt Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Vimizim* lietošanu.

Lai iegūtu praktisku informāciju par *Vimizim* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsazinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Vimizim* un kāpēc tās lieto?

Vimizim ir zāles, kas satur aktīvo vielu alfa elosulfāzi. Tās lieto, lai ārstētu pacientus, kuriem ir IVA tipa mukopolisaharidoze (MPS IVA, ko dēvē arī par *Morquio A* sindromu). Šo slimību izraisa enzīma N-acetilgalaktozamīna-6-sulfatāzes trūkums. Šis enzīms ir nepieciešams, lai organismā sadalītu vielas, ko dēvē par glikozaminoglikāniem (GAG). Ja šī enzīma nav vai arī tas ir tikai ļoti nelielā daudzumā, GAG nav iespējams sadalīt, un tie uzkrājas kaulos un orgānos. Tas izraisa slimības pazīmes, no kurām pamanāmākās ir īsi kauli, apgrūtināta spēja kustēties un elpot, redzes miglošanās un dzirdes zudums.

Saistībā ar to, ka MPS IVA pacientu skaits ir mazs, šo slimību uzskata par retu, un 2009. gada 24. jūlijā *Vimizim* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Kā lieto *Vimizim*?

Ārstēšana ar *Vimizim* jāuzrauga ārstam, kuram ir pieredze MPS IVA vai līdzīgu slimību ārstēšanā. Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti un tās drīkst lietot tikai atbilstoši apmācīts veselības aprūpes speciālists.

Vimizim ir pieejams kā koncentrāts infūziju šķīduma pagatavošanai ievadīšanai (pilienveidā) vēnā. Ieteicamā deva ir 2 mg uz klilogramu ķermeņa masas vienreiz nedēļā. Infūzijai jābūt aptuveni 4 stundas ilgai. Pirms *Vimizim* lietošanas pacientam jālieto zāles alerģijas pret *Vimizim* profilaksei. Pacientiem var dot arī zāles drudža profilaksei.



Kā *Vimizim* darbojas?

Vimizim ir enzīmu aizstājterapijas līdzeklis. Enzīmu aizstājterapija nodrošina pacientiem trūkstošo enzīmu. *Vimizim* aktīvā viela alfa elosulfāze ir cilvēka enzīma N-acetilgalaktozamīna-6-sulfatāzes kopija. Aizstātais enzīms palīdz sadalīt GAG un pārtraukt to uzkrāšanos šūnās, tādējādi mazinot MPS IVA simptomus.

Alfa elosulfāzi sintezē, izmantojot metodi, ko dēvē par "rekombinantas DNS tehnoloģiju": to sintezē šūnās, kurās ievadīts gēns (DNS), kas padara tās spējīgas sintezēt enzīmu.

Kādas bija *Vimizim* priekšrocības šajos pētījumos?

Vimizim pētīja vienā pamatpētījumā, iesaistot 176 pacientus ar MPS IVA, kurā *Vimizim* salīdzināja ar placebo (neīstu ārstēšanas līdzekli). Galvenais efektivitātes rādītājs bija attāluma, ko pacienti spēj noiet sešās minūtēs, izmaiņas pēc sešiem ārstēšanas mēnešiem.

Pirms ārstēšanas pacienti varēja noiet vidēji vairāk nekā 200 metrus sešās minūtēs. Pēc sešiem mēnešiem pacienti, kurus ārstēja ar *Vimizim* ieteicamo devu, sešu minūšu laikā varēja papildus noiet vidēji vēl 37 metrus, salīdzinot ar attāluma pieaugumu par 14 metriem pacientiem, kuri saņēma placebo. Pētījuma rezultāti arī liecināja, ka zāles spēja uzlabot pacientiem elpošanu vai spēju kāpt pa kāpnēm un bērniem augšanu.

Kāds risks pastāv, lietojot *Vimizim*?

Visbiežāk novērotās *Vimizim* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir ar infūziju saistītas reakcijas, to vidū galvassāpes, slikta dūša (nelabums), vemšana, drudzis, drebuļi un sāpes vēderā. Šīs blakusparādības parasti ir vieglas vai vidēji smagas un biežāk sastopamas pirmo 12 ārstēšanas nedēļu laikā. nopietnas, bet retāk sastopamas ar infūziju saistītas reakcijas ir anafilakse (smaga alerģiska reakcija). Pilns visu *Vimizim* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Vimizim nedrīkst lietot pacientiem, kuriem ir bijušas dzīvībai bīstamas alerģiskas reakcijas pret alfa elosulfāzi vai kādu citu *Vimizim* sastāvdaļu.

Kāpēc *Vimizim* tika apstiprinātas?

CHMP nolēma, ka pacientu ieguvums, lietojot *Vimizim*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību. CHMP secināja, ka pēc sešiem ārstēšanas mēnešiem *Vimizim* pierādīta spēja uzlabot attālumu, ko pacienti spēj noiet sešu minūšu laikā, un to pavadīja cita veida labvēlīga ietekme, tai skaitā uzlabota spēja veikt ikdienas aktivitātes. Tāpat Komiteja uzskatīja, ka *Vimizim* drošuma profils ir pārvaldāms un nopietnas blakusparādības rodas retāk, bet turpmāk vēl jāapkopo ilgtermiņa drošuma dati.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu un efektīvu *Vimizim* lietošanu?

Lai nodrošinātu iespējami nekaitīgu *Vimizim* lietošanu, ir izstrādāts riska pārvaldības plāns. Pamatojoties uz šo plānu, *Vimizim* zāļu aprakstā ir ietverta drošuma informācija, kā arī lietošanas instrukcija, tostarp attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Turklāt uzņēmumam, kas ražo *Vimizim*, jānodrošina, lai visi veselības aprūpes speciālisti, kuri varētu parakstīt vai lietot šīs zāles, saņemtu izglītojošu materiālu, kurā sniegta informācija par zāļu lietošanu un smagu alerģisku reakciju risku. Uzņēmums izveidos arī reģistru, lai novērtētu *Vimizim* ilgtermiņa ieguvumus un risku.

Papildu informācija ir pieejama [riska pārvaldības plāna kopsavilkumā](#).

Cita informācija par *Vimizim*

Eiropas Komisija 2014. gada 28. aprīlī izsniedza *Vimizim* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Vimizim* EPAR teksts un riska pārvaldības plāna kopsavilkums ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Vimizim* atrodama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Vimizim* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 04.2014.