



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

---

### Vimizim

elosulfase alfa

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Vimizim. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tagħha fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tagħha. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Vimizim.

Għal informazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Vimizim, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew spiżjar tagħhom.

### X'inhu Vimizim u għal xiex jintuża?

Vimizim huwa medicina li fiha s-sustanza attiva elosulfase alfa. Huwa jintuża biex jikkura pazjenti bil-marda ta' mukopolisakkaridosi tip IVA (MPS IVA, magħrufa wkoll bħala sindrome ta' Morquio A). Din il-marda hija kkawżata min-nuqqas ta' enzima msejja N-acetylgalactosamine-6-sulfatase, li hija meħtieġa biex jtkissru s-sustanzi fil-ġisem imsejja glycosaminoglycans (GAGs). Jekk l-enzima ma tkunx preżenti, jew tkun preżenti fi kwantitajiet żgħir ħafna, il-GAGs ma jistgħux jtkissru u jakkumulaw fl-għadam u fl-organi. Dan jikkawża s-sinjali tal-marda, l-aktar evidenti fosthom ikunu għadam qasir, diffikultà biex tiċċaqlaq u biex tieħu nifs, għajnejn imtappna u telf ta' smiġh.

Minħabba li n-numru ta' pazjenti b'MPS IVA huwa wieħed baxx, il-marda hija kkunsidrata bħala waħda 'rari', u Vimizim ġie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina li tintuża f'mard rari) fl-24 ta' Lulju 2009.

### Kif jintuża Vimizim?

Il-kura b'Vimizim għandha tiġi ssorveljata minn tabib b'esperjenza f'MPS IVA jew mard simili. Il-medicina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u għandha tingħata minn professjonista fil-kura tas-saħħa mħarreġ b'mod xieraq.

Vimizim jiġi bħala konċentrat li jithallat f'soluzzjoni għall-infużjoni (dripp) fil-vina. Id-doża rakkomandata hija ta' 2 mg għal kull kilogramma ta' piż tal-ġisem, li tingħata darba kuljum. L-infużjoni għandha tieħu madwar 4 sigħat. Qabel ma jirċievi Vimizim, il-pazjent għandu jingħata medicina għall-

---

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](mailto:info@ema.europa.eu) Website [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

An agency of the European Union



prevenzjoni ta' reazzjoni allergjika għal Vimizim. Il-pazjenti jistgħu jingħataw ukoll medicina li tipprevjeni d-deni.

## **Kif jaħdem Vimizim?**

Vimizim huwa terapija ta' sostituzzjoni tal-enzimi. It-terapija ta' sostituzzjoni tal-enzimi tipprovdi lill-pazjenti bl-enzima li tkun nieqsa. Is-sustanza attiva f'Vimizim, l-elosulfase alfa, hija kopja tal-enzima tal-bniedem N-acetylgalactosamine-6-sulfatase. L-enzima ta' sostituzzjoni tgħin biex tkisser il-GAGs u twaqqafhom milli jakkumulaw fiċ-ċelloli, u b'hekk ittejjeb is-sintomi ta' MPS IVA.

L-elosulfase alfa hija prodotta b'metodu magħruf bħala 'teknoloġija rikombinanti tad-DNA': issir minn ċelloli li jkun għe introdott fihom ġene (DNA), li permezz tiegħu jkunu jistgħu jipproduċu l-enzima.

## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Vimizim li ħarġu mill-istudji?**

Vimizim għe investigat fi studju wieħed ewlieni li kien jinvolvi 176 pazjent b'MPS IVA, li qabbel Vimizim ma' plaċebo (kura finta). Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fid-distanza li l-pazjenti setgħu jimxu f'sitt minuti wara 6 xhur ta' kura.

Qabel il-kura, il-pazjenti setgħu jimxu bħala medja ftit aktar minn 200 metru f'sitt minuti. Wara 6 xhur, il-pazjenti kkurati bid-doża rrakkomandata ta' Vimizim setgħu jimxu 37 metru oħra bħala medja f'sitt minuti, meta mqabbla ma' žieda ta' 14-il metru f'pazjenti li rċievw il-plaċebo. Ir-riżultati tal-istudju jissuġġerixxu wkoll li l-medicina tista' ttejjeb kemm il-pazjenti jieħdu nifs sew jew jitilgħu t-taraġ, u fi tfa, kemm jikbru b'mod tajjeb.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Vimizim?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Vimizim (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna waħda minn kull 10) huma reazzjonijiet relatati mal-infużjoni, inkluż uġiġħ ta' ras, nawżja (tħossok ma tiflaħx), rimettar, deni, tertir ta' bard u uġiġħ addominali (uġiġħ fl-istonku). Dawn ġeneralment huma ħfief jew moderati u aktar frekwenti fl-ewwel 12-il ġimgħa ta' kura. Reazzjonijiet serji iżda mhux komuni relatati mal-infużjoni jinkludu anafilassi (reazzjoni allergjika qawwija). Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrapportati b'Vimizim, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Vimizim ma għandux jintuża f'pazjenti li esperjenzaw reazzjonijiet allergiċi li huma ta' periklu għall-ħajja għal elosulfase alfa jew għal xi sustanza oħra f'Vimizim.

## **Għaliex għe approvat Vimizim?**

Il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) tal-Aġenzija ddeċieda li l-benefiċċji ta' Vimizim huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jkun approvat għall-użu fl-UE. Is-CHMP ikkonkluda li, wara 6 xhur ta' kura, Vimizim intwera li huwa effikaċi biex ittejjeb id-distanza li l-pazjenti setgħu jimxu f'sitt minuti, u dan kien akkumpanjat minn effetti oħrajn ta' benefiċċju, inkluż titjib fil-kapaċità biex iwettqu l-attivitajiet ta' kuljum. Il-Kumitat ikkunsidra wkoll li l-profil tas-sigurtà ta' Vimizim jidher maniġġabbli u l-effetti sekondarji serji mhumiex komuni, iżda għandha tingabar aktar dejta dwar is-sigurtà fit-tul.

## **X'miżuri qegħdin jitteħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Vimizim?**

Ġie żviluppat pjan ta' ġestjoni tar-riskju biex jiġi żgurat li Vimizim jintuża bl-aktar mod sigur possibbli. Abbażi ta' dan il-pjan, fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u l-fuljett ta' tagħrif għet inkluża

informazzjoni rigward is-sigurtà ta' Vimizim, inklużi l-prekawzjonijiet xierqa li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti tal-kura tas-saħħa u l-pazjenti.

Barra minn hekk, il-kumpanija li timmanifattura Vimizim għandha tiżgura li l-professjonisti tal-kura tas-saħħa kollha li huma mistennija li jiktbu jew jużaw il-mediċina jingħataw materjal edukattiv, li jinfurmahom dwar kif għandha tintuża l-mediċina u r-riskju ta' reazzjonijiet allergiċi severi. Il-kumpanija se jra wkoll tistabbilixxi reġistru biex jiġu vvalutati l-benefiċċji u r-riskji fit-tul ta' Vimizim.

Aktar informazzjoni tinstab fis-[s-sommarju tal-pjan tal-ġestjoni tar-riskju](#).

## **Informazzjoni oħra dwar Vimizim**

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Vimizim fit-28 ta' April 2014.

L-EPAR s'hih u s-sommarju tal-pjan tal-ġestjoni tar-riskju għal Vimizim jinstabu fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Vimizim, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew spizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Vimizim jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dan is-sommarju ġie aġġornat l-aħħar f'04-2014.