



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR-samenvatting voor het publiek

---

# Vimizim

## elosulfase-alfa

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Vimizim. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Vimizim.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Vimizim.

### **Wat is Vimizim en wanneer wordt het voorgeschreven?**

Vimizim is een geneesmiddel dat de werkzame stof elosulfase-alfa bevat. Het wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met mucopolysacharidose type IVA (MPS IVA, ook wel bekend als Morquio A-syndroom). Deze ziekte wordt veroorzaakt door gebrek aan een enzym genaamd N-acetylgalactosamine-6-sulfatase, dat nodig is voor het afbreken van stoffen in het lichaam die glycosaminoglycanen (GAG's) worden genoemd. Als het enzym niet of slechts in zeer kleine hoeveelheden aanwezig is, kunnen GAG's niet worden afgebroken en hopen ze zich op in botten en organen. Dit veroorzaakt de tekenen van de ziekte, waarvan korte botten, moeite met bewegen en ademen, vertroebeling van de ogen en gehoorverlies de meest opvallende zijn.

Aangezien het aantal patiënten met MPS IVA klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Vimizim op 24 juli 2009 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten).

### **Hoe wordt Vimizim gebruikt?**

De behandeling met Vimizim moet worden gecontroleerd door een arts die ervaring heeft met MPS IVA of vergelijkbare ziektes. Het middel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en dient te worden gegeven door een daartoe opgeleide professionele zorgverlener.

---

7 Westferry Circus • Canary Wharf • Londen E14 4HB • Verenigd Koninkrijk

**Telefoon** +44 (0)20 7418 8400 **Fax** +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)

Een agentschap van de Europese Unie



Vimizim is verkrijgbaar in de vorm van een concentraat voor oplossing voor infusie (indruppeling) in een ader. De aanbevolen dosis is 2 mg per kilogram lichaamsgewicht, eenmaal per week geïnjecteerd. De infusie dient circa vier uur te duren. Voordat de patiënt Vimizim ontvangt, dient hij/zij een geneesmiddel te krijgen om een allergische reactie op Vimizim te voorkomen. Patiënten kunnen ook een geneesmiddel krijgen om koorts te voorkomen.

## **Hoe werkt Vimizim?**

Vimizim is een enzymvervangende therapie. Enzymvervangende therapie voorziet patiënten van het enzym dat ze missen. De werkzame stof in Vimizim, elosulfase-alfa, is een kopie van het menselijke enzym N-acetylgalactosamine-6-sulfatase. Het vervangende enzym helpt bij de afbraak van GAG's en stopt de accumulatie ervan in cellen, waardoor de symptomen van MPS IVA afnemen.

Elosulfase-alfa wordt vervaardigd met behulp van een methode die bekendstaat als 'recombinant-DNA-techniek', en wel door cellen waarin een gen (DNA) is ingebracht zodat de cellen het enzym kunnen aanmaken.

## **Welke voordelen bleek Vimizim tijdens studies te hebben?**

Vimizim is onderzocht in één grote studie onder 176 patiënten met MPS IVA, waarin Vimizim met placebo (een schijnbehandeling) werd vergeleken. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering in de afstand die patiënten in zes minuten konden lopen na zes maanden behandeling.

Vóór de behandeling konden de patiënten in zes minuten gemiddeld iets verder dan 200 meter lopen. Na zes maanden konden patiënten die met de aanbevolen dosis Vimizim waren behandeld in zes minuten gemiddeld 37 meter meer lopen, tegenover een toename van 14 meter bij patiënten die placebo hadden gekregen. De onderzoeksresultaten suggereerden ook dat patiënten door het geneesmiddel beter konden ademen of trappen konden opgaan, en dat bij kinderen de groei verbeterde.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Vimizim in?**

De meest voorkomende bijwerkingen van Vimizim (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn infusiegerelateerde reacties, waaronder hoofdpijn, misselijkheid, braken, koorts, rillingen en buikpijn. Deze zijn doorgaans licht tot matig van aard en komen vaker voor in de eerste twaalf weken van de behandeling. Tot de ernstige maar slechts soms optredende infusiegerelateerde reacties behoort anafylaxe (ernstige allergische reactie). Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Vimizim.

Vimizim mag niet worden gebruikt bij patiënten die levensbedreigende allergische reacties hebben gehad op elosulfase-alfa of op enig ander bestanddeel van het middel.

## **Waarom is Vimizim goedgekeurd?**

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Vimizim groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd dit middel voor gebruik in de EU goed te keuren. Het CHMP heeft geconcludeerd dat Vimizim na zes maanden behandeling werkzaam bleek voor het verbeteren van de afstand die patiënten in zes minuten konden lopen, en dat dit gepaard ging met andere gunstige effecten, waaronder een verbeterd vermogen om dagelijkse activiteiten uit te voeren. Het Comité heeft ook geconstateerd dat het veiligheidsprofiel van

Vimizim beheersbaar lijkt en ernstige bijwerkingen slechts soms voorkomen, maar er dienen nog meer veiligheidsgegevens over de lange termijn te worden verzameld.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Vimizim te waarborgen?**

Om een zo veilig mogelijk gebruik van Vimizim te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter van Vimizim veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Bovendien moet het bedrijf dat Vimizim vervaardigt, ervoor zorgen dat alle professionele zorgverleners die naar verwachting het geneesmiddel zullen voorschrijven of gebruiken, worden voorzien van voorlichtingsmateriaal, met informatie over hoe het geneesmiddel dient te worden gebruikt en over het risico op ernstige allergische reacties. Het bedrijf zal ook een register opzetten ter beoordeling van de voordelen en risico's van Vimizim op de lange termijn.

Meer informatie is te vinden in de [samenvatting van het risicobeheerplan](#).

## **Overige informatie over Vimizim**

De Europese Commissie heeft op 28 april 2014 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Vimizim verleend.

Het volledige EPAR en de samenvatting van het risicobeheerplan voor Vimizim zijn te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Vimizim.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Vimizim is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 04-2014.