



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Vimizim

elosulfase alfa

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Vimizim. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Vimizim.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Vimizim, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Vimizim e para que é utilizado?

O Vimizim é um medicamento que contém a substância ativa elosulfase alfa. É utilizado no tratamento da mucopolissacaridose, tipo IVA (MPS IVA, também conhecida por Síndrome de Morquio A). Esta doença é causada pela falta de uma enzima chamada N-acetilgalactosamina-6-sulfatase, necessária para a decomposição de substâncias no organismo chamadas glicosaminoglicanos (GAG). No caso de ausência da proteína, ou de uma presença apenas em quantidades muito pequenas, os GAG não se decompõem e acumulam-se nos ossos e órgãos. Tal causa os sinais da doença, sendo os mais conhecidos ossos curtos, dificuldade em deslocar-se e respirar, turvação dos olhos e perda auditiva.

Dado o número de doentes afetados por MPS IVA ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Vimizim foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 24 de julho de 2009.

Como se utiliza o Vimizim?

O tratamento com o Vimizim deve ser supervisionado por um médico com experiência na MPS IVA ou doenças semelhantes. O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e deve ser administrado por um profissional de saúde com formação adequada.

O Vimizim encontra-se disponível como um concentrado a ser reconstituído numa solução para perfusão (administração gota a gota) numa veia. A dose recomendada é de 2 mg por quilograma de

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



peso corporal, administrada uma vez por dia. A perfusão deve demorar cerca de 4 horas. Antes da administração do Vimizim, o doente deve receber um medicamento para a prevenção de uma reação alérgica ao Vimizim. Os doentes podem também receber um medicamento para a prevenção da febre.

Como funciona o Vimizim?

O Vimizim é uma terapêutica de substituição enzimática. A terapêutica de substituição enzimática fornece aos doentes a enzima que lhes falta. A substância ativa do Vimizim, elosulfase alfa, é uma cópia da enzima humana N-acetilgalactosamina-6-sulfatase. A enzima de substituição ajuda a decompor os GAG e impede a sua acumulação nas células, melhorando, dessa forma, os sintomas da MPS IVA.

A elosulfase alfa é produzida por um método conhecido como "tecnologia de ADN recombinante": é gerada por células nas quais foi introduzido um gene (ADN) que as torna capazes de produzir a enzima.

Quais os benefícios demonstrados pelo Vimizim durante os estudos?

O Vimizim foi analisado num estudo principal que incluiu 176 doentes com MPS IVA e que comparou o Vimizim com um placebo (tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia foi a alteração na distância que os doentes conseguiam caminhar em seis minutos após 6 meses de tratamento.

Antes do tratamento, os doentes conseguiam caminhar, em média, apenas 200 metros em seis minutos. Decorridos 6 meses, os doentes tratados com a dose recomendada do Vimizim passaram a conseguir caminhar 37 metros extra em seis minutos, em comparação com 14 metros extra nos doentes a receberem placebo. Os resultados do estudo também sugeriram que o medicamento conseguia melhorar o modo como os doentes respiravam ou subiam escadas e, no caso das crianças, como cresciam.

Quais são os riscos associados ao Vimizim?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Vimizim (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são reações ligadas à perfusão, incluindo dor de cabeça, náuseas (sensação de enjoo), vômitos, febre, calafrios e dor abdominal (dores de estômago). São, em geral, ligeiros ou moderados, e a frequência foi mais elevada durante as primeiras 12 semanas de tratamento. As reações ligadas à perfusão graves mas involuntárias incluem anafilaxia (reação alérgica grave). Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Vimizim, consulte o Folheto Informativo.

O uso do Vimizim é contraindicado em doentes que tenham sofrido reações alérgicas potencialmente fatais à elosulfase alfa ou a qualquer um dos componentes do Vimizim.

Por que foi aprovado Vimizim?

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Vimizim são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE. O CHMP concluiu que, decorridos 6 meses de tratamento, foi demonstrado que o Vimizim é eficaz a melhorar a distância que os doentes conseguem caminhar em seis minutos, além de outros efeitos benéficos, incluindo capacidade melhorada de realizar atividades diárias. O Comité considerou ainda que o perfil de segurança do Vimizim parece ser controlável e que os efeitos secundários graves são involuntários, embora seja necessário recolher dados adicionais de segurança a longo prazo.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Vimizim?

Foi desenvolvido um plano de gestão dos riscos para garantir a utilização segura do Vimizim. Com base neste plano, foram incluídas informações de segurança no Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo do Vimizim, incluindo as precauções apropriadas a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes.

Além disso, a empresa responsável pelo fabrico do Vimizim tem de garantir que todos os profissionais de saúde que se prevê que prescrevam ou utilizem o medicamento recebem material educacional, informando-os do modo de utilização do medicamento e do risco de reações alérgicas graves. A empresa irá também criar um registo destinado a avaliar os benefícios e riscos do Vimizim a longo prazo.

Podem ser encontradas informações adicionais no [resumo do plano de gestão dos riscos](#).

Outras informações sobre o Vimizim

Em 28 de abril de 2014, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Vimizim.

O EPAR completo e o resumo do plano de gestão dos riscos relativos ao Vimizim podem ser consultados no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Vimizim, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Vimizim pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 04-2014.