



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Vimizim

alfa elosulfază

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Vimizim. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Vimizim.

Pentru informații practice privind utilizarea Vimizim, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este Vimizim și pentru ce se utilizează?

Vimizim este un medicament care conține substanța activă alfa elosulfază. Acesta se utilizează pentru tratamentul pacienților cu mucopolizaharidoză de tip IVA (MPS IVA, o boală cunoscută, de asemenea, sub numele de sindromul Morquio A). Această boală este cauzată de absența unei enzime numite N-acetilgalactozamină-6-sulfatază, care este necesară în descompunerea substanțelor din organism numite glicozaminoglicani (GAG). Dacă enzima nu este prezentă sau dacă aceasta este prezentă numai în cantități foarte mici, GAG nu pot fi descompuși și se acumulează la nivelul oaselor și al organelor. Aceasta determină apariția simptomelor bolii, cele mai vizibile fiind oase de dimensiuni reduse, dificultăți de mers și de respirație, opacifierea cristalinului și pierderea auzului.

Din cauza numărului mic de pacienți cu MPS IVA, boala este considerată „rară”, iar Vimizim a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 24 iulie 2009.

Cum se utilizează Vimizim?

Tratamentul cu Vimizim trebuie să fie supravegheat de un medic cu experiență în gestionarea sindromului MPS IVA sau a bolilor similare. Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă și trebuie administrat de personalul medical care a fost instruit în mod corespunzător.

Vimizim este disponibil sub formă de concentrat din care se obține o soluție perfuzabilă (pentru picurare în venă). Doza recomandată este de 2 mg per kilogram de greutate corporală, administrată o

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



dată pe săptămână. Durata perfuziei trebuie să fie de aproximativ 4 ore. Înainte de a primi Vimizim, pacientului trebuie să i se administreze un medicament pentru prevenirea unei reacții alergice la Vimizim. De asemenea, pacienții pot primi un medicament pentru prevenirea febrei.

Cum acționează Vimizim?

Vimizim este un medicament utilizat în tratamentul de substituție enzimatică. Tratamentul de substituție enzimatică furnizează pacienților enzima care este absentă în organismul acestora. Substanța activă din Vimizim, alfa elosulfaza, este o copie a enzimei umane N-acetilgalactozamină-6-sulfatază. Enzima de substituție ajută la descompunerea GAG și oprește acumularea acestora în celule, ameliorând astfel simptomele sindromului MPS IVA.

Alfa elosulfaza este produsă printr-o metodă cunoscută sub numele de „tehnologia ADN-ului recombinant”: este produsă de celule care primesc o genă (ADN) care le face capabile să producă enzima.

Ce beneficii a prezentat Vimizim pe parcursul studiilor?

Vimizim a fost investigat într-un studiu principal care a cuprins 176 de pacienți cu MPS IVA, în care Vimizim a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv). Principalul indicator al eficacității a fost modificarea distanței pe care pacienții au putut să o parcurgă în mers în șase minute după 6 luni de tratament.

Înainte de inițierea tratamentului, pacienții puteau parcurge în mers o distanță medie de puțin peste 200 de metri în șase minute. După 6 luni, pacienții tratați cu doza recomandată de Vimizim au putut să parcurgă în mers, în medie, cu 37 de metri în plus în șase minute, în comparație cu o creștere de 14 metri la pacienții care au primit placebo. De asemenea, rezultatele studiului au sugerat că medicamentul a putut ameliora capacitatea pacienților de a respira și de a urca scările, iar la copii, capacitatea de creștere.

Care sunt riscurile asociate cu Vimizim?

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Vimizim (care pot afecta mai mult de o 1 persoană din 10) sunt reacțiile legate de perfuzie, incluzând dureri de cap, greață, vărsături, febră, frisoane și dureri abdominale (dureri de stomac). În general, acestea sunt ușoare sau moderate și apar mai frecvent în primele 12 săptămâni de tratament. Reacțiile grave, însă mai puțin frecvente, legate de perfuzie includ anafilaxia (reacție alergică gravă). Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Vimizim, consultați prospectul.

Vimizim este contraindicat la pacienții care au manifestat reacții alergice care pun viața în pericol la alfa elosulfază sau la oricare dintre celelalte ingrediente ale Vimizim.

De ce a fost aprobat Vimizim?

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că beneficiile Vimizim sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE. CHMP a concluzionat că, în urma tratamentului de 6 luni, s-a demonstrat că Vimizim este eficace în ameliorarea capacității pacienților de a parcurge o distanță mai mare în șase minute, iar aceasta a fost însoțită de alte efecte benefice, inclusiv o capacitate îmbunătățită de efectuare a activităților zilnice. De asemenea, Comitetul a considerat că profilul de siguranță al Vimizim pare să fie gestionabil și că efectele secundare grave sunt mai puțin frecvente, însă vor fi colectate date de siguranță suplimentare pe termen lung.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Vimizim?

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Vimizim să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Vimizim, au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

În plus, compania care produce Vimizim trebuie să se asigure că întregul personal medical de la care se așteaptă să prescrie sau să administreze medicamentul va primi materialul educațional cuprinzând informații cu privire la modul în care trebuie utilizat medicamentul și la riscul de apariție a reacțiilor alergice grave. De asemenea, compania va institui un registru pentru a evalua beneficiile și riscurile asociate cu Vimizim, pe termen lung.

Informații suplimentare sunt disponibile în [rezumatul planului de management al riscurilor](#).

Alte informații despre Vimizim

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Vimizim, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 28 aprilie 2014.

EPAR-ul complet și rezumatul planului de management al riscurilor pentru Vimizim sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Vimizim, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Vimizim este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 04-2014.