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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Vimizim

elosulfáza alfa

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Vimizim. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Vimizim.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Vimizim, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrujúceho lekára, resp. lekárnika.

Čo je liek Vimizim a na čo sa používa?

Vimizim je liek, ktorý obsahuje účinnú látku elosulfáza alfa. Liek sa používa na liečbu pacientov s mukopolysacharidózou typu IVA (MPS IVA, známou tiež ako Morquio syndróm A). Táto choroba je zapríčinená neprítomnosťou enzýmu s názvom N-acetylgalaktozamín-6-sulfatáza, ktorý je potrebný na rozklad látok v tele, ktoré sa nazývajú glykozaminoglykány (GAG). Ak tento enzým nie je prítomný alebo je prítomný len vo veľmi malom množstve, GAG sa nemôžu rozložiť a ukladajú sa v kostiach a orgánoch. To spôsobuje príznaky choroby, ku ktorým patria najmä krátke kosti, problémy pri pohybe a dýchaní, zakalenie očí a strata sluchu.

Keďže je počet pacientov s MPS IVA nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Vimizim dňa 24. júla 2009 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Ako sa liek Vimizim používa?

Na liečbu liekom Vimizim má dozerať lekár, ktorý má skúsenosti s MPS IVA alebo podobnými chorobami. Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liek má podávať príslušne zaškolený zdravotnícky pracovník.

Liek Vimizim je dostupný vo forme koncentrátu, z ktorého sa pripravuje infúzny roztok (kvapká do žily). Odporúčaná dávka je 2 mg na kilogram telesnej hmotnosti podávaná raz týždenne. Infúzia má

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

© European Medicines Agency, 2014. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

trvať asi 4 hodiny. Pred podaním lieku Vimizim má pacient dostať liek na prevenciu alergickej reakcie na liek Vimizim. Pacienti môžu dostať tiež liek na prevenciu horúčky.

Akým spôsobom liek Vimizim účinkuje?

Liek Vimizim je liečba náhradným enzýmom. Liečba náhradným enzýmom dodáva pacientom enzým, ktorý im chýba. Účinná látka lieku Vimizim, elosulfáza alfa, je kópiou ľudského enzýmu N-acetylgalaktozamín-6-sulfatáza. Náhradný enzým pomáha rozložiť GAG a zastaviť ich ukladanie v bunkách, čím sa zlepšia symptómy MPS IVA.

Elosulfáza alfa je vyrobená metódou, ktorá je známa ako technológia rekombinantnej DNA: vyrábajú ju bunky, do ktorých bol vložený gén (DNA), a preto môžu produkovať tento enzým.

Aké prínosy lieku Vimizim boli preukázané v štúdiách?

Liek Vimizim sa skúmal v jednej hlavnej štúdii, ktorej sa zúčastnilo 176 pacientov s MPS IVA, ktorá porovnávala liek Vimizim s placebom (zdanlivým liekom). Hlavným meradlom účinnosti bola zmena vo vzdialenosti, ktorú pacienti mohli prejsť za šesť minút po 6 mesiacoch liečby.

Pred liečbou mohli pacienti prejsť priemerne iba 200 metrov za šesť minút. Po 6 mesiacoch mohli pacienti liečení odporúčanou dávkou lieku Vimizim prejsť za šesť minút priemerne o 37 metrov viac v porovnaní s predĺžením vzdialenosti o 14 metrov v prípade pacientov dostávajúcich placebo. Z výsledkov štúdie tiež vyplýva, že liek by mohol u pacientov zlepšiť dýchanie alebo stúpanie do schodov a u detí by mohol zlepšiť rast.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Vimizim?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Vimizim (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú reakcie súvisiace s infúziou vrátane bolesti hlavy, nauzea (pocit nevoľnosti), vracanie, horúčka, zimnica a abdominálna bolesť (bolesť žalúdka). Tieto vedľajšie účinky sú zvyčajne mierne alebo stredne závažné a častejšie sa vyskytujú v prvých 12 týždňoch liečby. Závažné, ale menej časté reakcie súvisiace s infúziou zahŕňali anafylaxiu (závažnú alergickú reakciu). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Vimizim sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Vimizim sa nesmie používať v prípade pacientov, ktorí mali život ohrozujúcu alergickú reakciu na elosulfázu alfa alebo na ktorúkoľvek ďalšiu zložku lieku Vimizim.

Prečo bol liek Vimizim povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že prínosy lieku Vimizim sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ. Výbor CHMP dospel k záveru, že liek Vimizim sa preukázal po 6 mesiacoch liečby ako účinný pri zlepšení vzdialenosti, ktorú pacienti mohli prejsť za šesť minút, čo bolo sprevádzané ďalšími prínosmi vrátane zlepšenia schopnosti vykonávať každodenné činnosti. Výbor tiež usúdil, že bezpečnostný profil lieku Vimizim je zrejme kontrolovateľný a závažné vedľajšie účinky sú menej časté, ale musia sa zhromažďovať ďalšie údaje o dlhodobej bezpečnosti.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Vimizim?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Vimizim bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre

používateľa zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku Vimizim vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Spoločnosť, ktorá vyrába liek Vimizim, musí tiež zabezpečiť, aby všetci zdravotnícki pracovníci, ktorí pravdepodobne budú predpisovať alebo používať tento liek, dostali vzdelávací materiál, ktorý ich bude informovať o používaní lieku a riziku závažných alergických reakcií. Spoločnosť vytvorí tiež register na posúdenie dlhodobých prínosov a rizík lieku Vimizim.

Viac informácií sa nachádza v súhrne plánu riadenia rizík.

Ďalšie informácie o lieku Vimizim

Dňa 28. apríla 2014 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Vimizim na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Vimizim a súhrn plánu riadenia rizík sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Vimizim, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrujúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Vimizim sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 04-2014