



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Povzetek EPAR za javnost

---

# Vimizim

elosulfaza alfa

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Vimizim. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Vimizim naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

## Kaj je zdravilo Vimizim in za kaj se uporablja?

Vimizim je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino elosulfazo alfa. Uporablja se za zdravljenje bolnikov z mukopolisaharidozo tipa IVA (MPS IVA, ki jo imenujemo tudi Morquijev sindrom tipa A). Bolezen povzroča pomanjkanje encima, imenovanega N-acetilgalaktozamin-6-sulfataza, ki je potreben za razgradnjo snovi v telesu, imenovanih glikozaminoglikani (GAG). Če tega encima ni ali če je prisoten le v zelo majhnih količinah, se glikozaminoglikani ne morejo razgraditi in se kopičijo v kosteh in organih. To povzroči znake bolezni, med katerimi so najopaznejši kratke kosti, težave pri gibanju in dihanju, zamotnitev oči ter izguba sluha.

Ker je bolnikov z MPS IVA malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Vimizim 24. julija 2009 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

## Kako se zdravilo Vimizim uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Vimizim mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem MPS IVA ali podobnih bolezni. Izdaja zdravila je le na recept, dajati pa ga mora ustrezno usposobljen zdravstveni delavec.

Zdravilo Vimizim je na voljo v obliki koncentrata za pripravo raztopine za infundiranje (kapalno infuzijo) v veno. Priporočeni odmerek je 2 mg na kilogram telesne mase, ki se daje enkrat na teden. Infuzija mora trajati približno 4 ure. Preden bolnik prejme zdravilo Vimizim, mora dobiti zdravilo za



preprečevanje alergijske reakcije na zdravilo Vimizim. Bolniki lahko prejmejo tudi zdravilo za preprečevanje zvišanja telesne temperature.

## **Kako zdravilo Vimizim deluje?**

Vimizim je zdravilo za encimsko nadomestno zdravljenje. Encimsko nadomestno zdravljenje bolnikom zagotovi encim, ki jim ga primanjkuje. Zdravilna učinkovina v zdravilu Vimizim, elosulfaza alfa, je kopija humanega encima N-acetilgalaktozamin-6-sulfataze. Nadomestni encim pomaga razgraditi glikozaminoglikane in prepreči njihovo kopičenje v celicah, s čimer izboljša simptome MPS IVA.

Elosulfaza alfa se pridobiva z metodo, imenovano „tehnologija rekombinantne DNA“: izdelajo jo celice, v katere so vstavili gen (DNA), s pomočjo katerega lahko tvorijo ta encim.

## **Kakšne koristi je zdravilo Vimizim izkazalo v študijah?**

Zdravilo Vimizim so raziskali v eni glavni študiji s 176 bolniki z MPS IVA, v kateri so zdravilo Vimizim primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba razdalje, ki so jo bolniki po 6 mesecih zdravljenja lahko prehodili v šestih minutah.

Bolniki so pred zdravljenjem v povprečju lahko prehodili nekaj več kot 200 metrov v šestih minutah. Po 6 mesecih so bolniki, zdravljeni s priporočenim odmerkom zdravila Vimizim, v povprečju lahko prehodili dodatnih 37 metrov v šestih minutah, medtem ko se je pri bolnikih, ki so prejeli placebo, razdalja podaljšala za 14 metrov. Rezultati študije so pokazali tudi, da lahko zdravilo pri bolnikih izboljša dihanje in zmožnost hoje po stopnicah ter izboljša rast pri otrocih.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Vimizim?**

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Vimizim (ki lahko prizadenejo več kot 1 osebo od 10) so reakcije, povezane z infundiranjem, ki vključujejo glavobol, navzeo (slabost), bruhanje, povišano telesno temperaturo, mrzlico in bolečine v trebuhu (bolečine v želodcu). Neželeni učinki so običajno blagi ali zmerni in se pogosteje pojavijo v prvih 12 tednih zdravljenja. Resne, vendar ne pogoste reakcije, povezane z infundiranjem, vključujejo anafilakso (hudo alergijsko reakcijo). Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Vimizim, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Vimizim se ne sme uporabljati pri bolnikih, ki so imeli smrtno nevarne alergijske reakcije na elosulfazo alfa ali katero koli drugo sestavino zdravila Vimizim.

## **Zakaj je bilo zdravilo Vimizim odobreno?**

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da so koristi zdravila Vimizim večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU. Odbor CHMP je zaključil, da se je zdravilo Vimizim po 6 mesecih zdravljenja izkazalo za učinkovito pri izboljšanju razdalje, ki so jo bolniki lahko prehodili v šestih minutah, poleg tega pa so opazili še druge koristne učinke, vključno z izboljšanjem sposobnosti opravljanja vsakodnevnih dejavnosti. Odbor je prav tako menil, da je varnostni profil zdravila Vimizim obvladljiv in da resni neželeni učinki niso pogosti, vendar pa se morajo pridobiti dodatni podatki o dolgoročni varnosti.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Vimizim?**

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Vimizim je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila Vimizim in navodilo za njegovo

uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Poleg tega mora družba, ki izdeluje zdravilo Vimizim, zagotoviti, da bodo vsi zdravstveni delavci, ki naj bi predpisovali ali uporabljali zdravilo, prejeli izobraževalno gradivo, s katerim se jih bo seznanilo z načinom uporabe zdravila in tveganjem za hude alergijske reakcije. Prav tako bo družba vzpostavila register za oceno dolgoročnih koristi in tveganj, povezanih z zdravilom Vimizim.

Dodatne informacije so na voljo v [povzetku načrta obvladovanja tveganj](#).

## **Druge informacije o zdravilu Vimizim**

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Vimizim, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 28. aprila 2014.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) in povzetek načrta obvladovanja tveganj za zdravilo Vimizim sta na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Vimizim preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Vimizim je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare_disease_designation).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 04-2014.