



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sammanfattning av EPAR för allmänheten

---

### Vimizim

elosulfas alfa

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Vimizim. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Vimizim ska användas.

Praktisk information om hur Vimizim ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

### Vad är Vimizim och vad används det för?

Vimizim är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen elosulfas alfa. Det används för att behandla patienter med mukopolysackaridos typ IVA (MPS IVA, kallas även Morquio A-syndrom). Sjukdomen orsakas av en brist på ett enzym som kallas N-acetylgalaktosamin-6-sulfatas, vilket behövs för att bryta ner ämnen i kroppen som kallas glykosaminoglykaner (GAG). Om enzymet saknas, eller bara finns i mycket små mängder, kan inte glykosaminoglykanerna brytas ner och de ansamlas istället i skelett och organ. Detta ger upphov till tecknen på sjukdomen, där det mest påtagliga är att patienten blir kortväxt, får svårt att röra sig och andas, får grumlade ögon och hörsel förlust.

Eftersom antalet patienter med MPS IVA är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Vimizim klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 24 juli 2009.

### Hur används Vimizim?

Behandling med Vimizim ska övervakas av läkare med erfarenhet av MPS IVA eller liknande sjukdomar. Läkemedlet är receptbelagt och bör ges av lämpligt utbildad sjukvårdspersonal.

Vimizim finns som ett koncentrat som bereds till en infusionsvätska, lösning (dropp) i en ven. Den rekommenderade dosen är 2 mg per kg kroppsvikt, vilket ges en gång i veckan. Infusionen bör vara i omkring fyra timmar. Innan Vimizim administreras ska patienten få ett läkemedel som förhindrar en allergisk reaktion på Vimizim. Patienterna kan även få ett läkemedel som förebygger feber.

---

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](mailto:info@ema.europa.eu) Website [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

An agency of the European Union



## Hur verkar Vimizim?

Vimizim är en enzymsubstitutionsbehandling. Vid enzymsubstitutionsbehandling tillförs patienterna det enzym de saknar. Den aktiva substansen i Vimizim, elosulfas alfa, är en kopia av enzymet N-acetylgalaktosamin-6-sulfatas hos människa. Substitutionsenzymet hjälper till att bryta ner glykosaminoglykaner och hindrar dem från att ansamlas i cellerna så att symtomen på MPS IVA förbättras.

Elosulfas alfa framställs genom en metod som kallas "rekombinant DNA-teknik": det framställs av celler i vilka en gen (DNA) har införts som gör att de kan producera enzymet.

## Vilken nytta med Vimizim har visats i studierna?

Vimizim har undersökts i en huvudstudie på 176 patienter med MPS IVA, där Vimizim jämfördes med placebo (en överksam behandling). Huvudmålet på effekt var förändringen av det avstånd som patienterna kunde gå på sex minuter efter sex månaders behandling.

Före behandlingen kunde patienterna i genomsnitt gå strax över 200 meter på sex minuter. Efter sex månader kunde de patienter som behandlats med den rekommenderade dosen av Vimizim i genomsnitt gå ytterligare 37 meter på sex minuter, jämfört med en ökning av 14 meter hos de patienter som fick placebo. Enligt studieresultaten kunde läkemedlet även förbättra hur väl patienterna andas eller går uppför trappor, och hos barn, hur väl de växer.

## Vilka är riskerna med Vimizim?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Vimizim (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är infusionsrelaterade reaktioner, däribland huvudvärk, illamående, kräkning, feber, frossa och buksmärta (magont). Dessa är vanligtvis lindriga eller måttliga och uppstår oftare under behandlingens första 12 veckor. Till allvarliga men ovanliga infusionsrelaterade reaktioner hör anafylaxi (allvarlig allergisk reaktion). En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Vimizim finns i bipacksedeln.

Vimizim får inte ges till patienter som har upplevt livshotande allergiska reaktioner mot elosulfas alfa eller mot något annat innehållsämne i Vimizim.

## Varför godkänns Vimizim?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Vimizim är större än riskerna och rekommenderade att Vimizim skulle godkännas för försäljning i EU. CHMP fann att Vimizim efter sex månaders behandling visades vara effektivt när det gällde att förbättra det avstånd som patienterna kunde gå på sex minuter, och detta åtföljdes av andra gynnsamma effekter, såsom förbättrad förmåga att utföra aktiviteter i det dagliga livet. Kommittén fann även att säkerhetsprofilen för Vimizim verkar vara hanterbar och att allvarliga biverkningar är ovanliga, men fler långsiktiga säkerhetsuppgifter ska samlas in.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Vimizim?

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Vimizim används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Vimizim. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

Dessutom måste företaget som tillverkar Vimizim se till att all sjukvårdspersonal som förväntas förskriva eller använda läkemedlet förses med utbildningsmaterial som informerar dem om hur

läkemedlet ska användas samt risken för allvarliga allergiska reaktioner. Företaget kommer även att upprätta ett register för att bedöma nyttan och riskerna på lång sikt med Vimizim.

I [sammanfattningen av riskhanteringsplanen](#) finns mer information.

## **Mer information om Vimizim**

Den 28 april 2014 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Vimizim som gäller i hela EU.

EPAR och sammanfattningen av riskhanteringsplanen finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Mer information om behandling med Vimizim finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Vimizim från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 04-2014.