



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447406/2016
EMEA/H/C/001249

EPAR – sammendrag for offentligheden

Vpriv

velaglucerase alfa

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Vpriv. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om, hvordan Vpriv skal anvendes.

Hvad er Vpriv?

Vpriv er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof velaglucerase alfa. Det leveres som et pulver, der efter opløsning indgives ved infusion (drop) i en vene.

Hvad anvendes Vpriv til?

Vpriv anvendes til langtidsbehandling af patienter med Gauchers sygdom. Gauchers sygdom er en sjælden, arvelig sygdom. Patienter med sygdommen producerer ikke tilstrækkeligt af enzymet glucocerebrosidase, som normalt nedbryder et fedtstof kaldet glucocerebrosid. Uden enzymet ophobes glucocerebrosid i kroppen, typisk i lever, milt og knogler, hvilket fremkalder sygdomssymptomer som anæmi (for lavt antal røde blodlegemer), træthed, tendens til at få blå mærker, blødningstendens, forstørret milt og lever samt knoglesmerter og knoglebrud.

Vpriv anvendes til patienter med Gauchers sygdom, type 1, som normalt er den type, der påvirker lever, milt og knogler.

Da antallet af patienter med Gauchers sygdom er lavt, anses sygdommen for at være "sjælden", og Vpriv blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 9. juni 2010.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.



Hvordan anvendes Vpriv?

Behandlingen med Vpriv bør overvåges af en læge med erfaring i behandling af patienter med Gauchers sygdom.

Den anbefalede dosis af Vpriv er 60 enheder pr. kg legemsvægt, som gives hver anden uge ved en infusion, der varer en time. Dosis kan tilpasses den enkelte patients symptomer og reaktion på behandlingen. De første tre infusioner gives på hospitalet, men for patienter, der tolererer infusionerne godt, kan det overvejes at foretage de efterfølgende infusioner i hjemmet. Infusioner i hjemmet skal indgives under overvågning af sundhedspersonale, der er udlært i akutpleje.

Hvordan virker Vpriv?

Gauchers sygdom opstår som følge af mangel på et enzym kaldet glucocerebrosidase. Velaglucerase alfa erstatter det manglende enzym ved Gauchers sygdom, som hjælper med at nedbryde glucocerebrosid og forhindrer det i at ophobe sig i kroppen.

Hvordan blev Vpriv undersøgt?

Vpriv blev i en undersøgelse med 35 patienter (heriblandt 9 børn) med Gauchers sygdom, type 1, sammenlignet med imiglucerase (et andet lægemiddel mod Gauchers sygdom). Virkningen blev hovedsagelig bedømt på forbedringen med hensyn til anæmi, som er en af sygdomssymptomerne, efter 41 uger. Undersøgelsen så desuden nærmere på kontrollen med andre sygdomstegn som f.eks. stigning i blodets indhold af blodplader og reduktion af leverens og miltens størrelse.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Vpriv?

Vpriv var mere effektivt end imiglucerase til at mindske anæmi. Vpriv øgede gennemsnitligt mængden af hæmoglobin (det protein i de røde blodlegemer, som transporterer ilt) med 1,6 gram pr. deciliter (fra 11,4 g/dl), mens imiglucerase gennemsnitligt øgede mængden af hæmoglobin med 1.5 g/dl (fra 10,6 g/dl). Undersøgelsen viste endvidere, at Vpriv er lige så effektivt som imiglucerase til at kontrollere andre af symptomerne på Gauchers sygdom.

Hvilken risiko er der forbundet med Vpriv?

De hyppigste bivirkninger ved Vpriv (som optræder hos flere end 1 ud af 10 patienter) er infusionsrelaterede reaktioner, bl.a. hovedpine, svimmelhed, hypotension (lavt blodtryk), hypertension (højt blodtryk), kvalme, kraftsløshed eller træthed samt feber eller forhøjet kropstemperatur. De mest alvorlige bivirkninger er overfølsomhed (allergiske reaktioner).

Vpriv må ikke anvendes til patienter med svære allergiske reaktioner over for velaglucerase alfa eller andre af indholdsstofferne.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Vpriv fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Vpriv godkendt?

CHMP konkluderede, at fordelene ved Vpriv opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse for Vpriv.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Vpriv?

Virksomheden, der markedsfører Vpriv, vil udlevere oplysningsmateriale til alle læger og patienter, der forventes at bruge Vpriv, med information om, hvordan risikoen for infusionsrelaterede reaktioner håndteres, når lægemidlet gives hjemme.

I produktresuméet og indlægssedlen er der desuden indføjet anbefalinger og forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge med henblik på sikker og effektiv anvendelse af Vpriv.

Andre oplysninger om Vpriv

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Vpriv den 26. august 2010.

Den fuldstændige EPAR for Vpriv findes på agenturets websted under [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](#). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Vpriv, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme for Vpriv findes på agenturets websted under [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](#).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 06-2016.