



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447411/2016
EMA/H/C/001249

EPAR-yhteenveto

Vpriv

velagluseraasi alfa

Tämä on tiivistelmä Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Vpriv-valmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon ja suosituksiin Vpriv-valmisteen käytön ehdoista.

Mitä Vpriv on?

Vpriv on lääkevalmiste, jonka vaikuttava aine on velagluseraasi alfa. Sitä saa kuiva-aineena, josta tehdään infuusioliuos (tiputus laskimoon).

Mihin Vpriv-valmistetta käytetään?

Vpriv-valmistetta käytetään Gaucherin tautia sairastavien potilaiden pitkäaikaiseen hoitoon. Gaucherin tauti on harvinainen perinnöllinen häiriö. Sitä sairastavilla ihmisillä ei ole riittävästi entsyymiä nimeltä glukoserebrosidaasi, joka normaalisti pilkkoo glukoserebrosidi-nimisen rasva-aineen. Kun entsyymiä ei ole, glukoserebrosidia kerääntyy elimistöön, tyypillisesti maksaan, pernaan ja luihin, mikä aiheuttaa sairauden oireet: anemia (punasolujen alhainen määrä), väsymys, mustelmaherkkyys ja vuotoherkkyys, pernan ja maksan suureneminen sekä kipu luissa ja luunmurtumat.

Vpriv-valmistetta annetaan potilaille, joilla on tyypin 1 Gaucherin tauti. Tavallisesti tämä taudin tyyppi vaikuttaa maksaan, pernaan ja luihin.

Koska Gaucherin tautia sairastavien potilaiden määrä on pieni, taudin katsotaan olevan harvinainen, minkä vuoksi Vpriv luokiteltiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten tautien hoidossa käytettäväksi lääkkeeksi) 9. kesäkuuta 2010.

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä.

Miten Vpriv-valmistetta käytetään?

Vpriv-hoito on annettava Gaucherin taudin hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Suositusannos on 60 yksikköä potilaan painokiloa kohden tunnin kestäväenä infuusiona kahden viikon välein. Annosta voidaan mukauttaa potilaan oireiden ja hoitovasteen mukaan. Ensimmäiset kolme infuusiota annetaan sairaalassa, mutta seuraavat infuusiot voidaan antaa lääkettä hyvin sietäville potilaille kotona. Kotona infuusiot on annettava ensihoidon toimenpiteisiin koulutuksen saaneen terveydenhoidon ammattilaisen valvonnassa.

Miten Vpriv vaikuttaa?

Gaucherin tauti johtuu glukoserebrosidaasi-nimisen entsyymin puutteesta. Velagluseraasi alfa korvaa puuttuvan entsyymin Gaucherin tautia sairastavilla ja auttaa siten glukoserebrosidin hajottamista sekä estää sen kerääntymisen elimistöön.

Miten Vpriv-valmistetta on tutkittu?

Vpriv-valmistetta verrattiin imigluseraasiin (toinen Gaucherin taudin hoidossa käytettävä lääke) yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 35 tyyppiä 1 Gaucherin tautia sairastavaa potilasta (joista 9 oli lapsia). Tehon pääasiallisena mittana oli anemiassa 41 viikon jälkeen tapahtunut parannus; anemia on yksi taudin oireista. Tutkimuksessa tarkasteltiin myös muiden taudin merkkien saamista hallintaan, kuten verihiihtaleiden määrän lisääntymistä veressä sekä maksan ja pernan koon pienenemistä.

Mitä hyötyä Vpriv-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Vpriv vähensi anemiaa yhtä tehokkaasti kuin imigluseraasi. Vpriv lisäsi hemoglobiinin (happea kuljettava proteiini punaisissa verisoluisissa) määrää keskimäärin 1,6 grammaa/desilitra (lähtötaso 11,4 g/dl), kun imigluseraasi lisäsi hemoglobiinin määrää keskimäärin 1,5 g/dl (lähtötaso 10,6 g/dl). Tutkimus osoitti myös, että Vpriv oli yhtä tehokas kuin imigluseraasi muidenkin Gaucherin taudin oireiden hallinnassa.

Mitä riskejä Vpriv-valmisteeseen liittyy?

Vpriv-valmisteen yleisin sivuvaikutus (useammalla kuin 1 potilaalla 10:stä) ovat infuusioon liittyviä reaktioita, joita ovat päänsärky, huimaus, alhainen verenpaine, korkea verenpaine, huonovointisuus, heikotus tai väsymys sekä pyreksia (kuume) tai kohonnut ruumiinlämpö. Vakavimmat sivuvaikutukset ovat yliherkkyysoireita (allergisia reaktioita).

Vpriv-valmistetta ei saa antaa henkilöille, jotka saavat vakavan allergisen reaktion velagluseraasi alfasta tai lääkkeen jostakin muusta valmistusaineesta.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Vpriv-valmisteen sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Vpriv on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea katsoi Vpriv-valmisteen hyödyn olevan sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Miten voidaan varmistaa Vpriv-valmisteen turvallinen ja tehokas käyttö?

Vpriv-valmistetta markkinoiva yhtiö toimittaa perehdytysmateriaalia kaikille lääkäreille, joiden oletetaan määräävän valmistetta. Aineisto sisältää tietoa infuusioon liittyvistä reaktioista, kun lääkettä annetaan kotona.

Vpriv-valmisteen turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettavaksi.

Muuta tietoa Vpriv-valmisteesta

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Vpriv-valmistetta varten 26. elokuuta 2010.

Vpriv-valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan EMAn verkkosivustolla osoitteessa [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://EMA.website/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Lisätietoja Vpriv-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Harvinaislääkekomitean Vpriv-valmistetta koskevan lausunnon tiivistelmä on viraston verkkosivustolla: [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://EMA.website/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 06-2016.