



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447414/2016
EMEA/H/C/001249

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Vpriv

velagluceráz-alfa

Ez a dokumentum a Vpriv-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Vpriv alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Vpriv?

A Vpriv egy velagluceráz-alfa nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Oldatos infúzió készítésére szolgáló por formájában kapható.

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Vpriv?

A Vpriv-et Gaucher-kórban szenvedő betegek hosszú távú kezelésére alkalmazzák. A Gaucher-kór ritka örökletes betegség, amelynél a betegek szervezetében nincs elegendő mennyiség a glükocerebrozidáz nevű enzimből, amely normál körülmények között a glükocerebrozid nevű zsírt bontja le. Ha ez az enzim hiányzik, a glükocerebrozid felhalmozódik a szervezetben, jellemzően a májban, a lépben és a csontokban, és ez vezet a betegség tüneteinek kialakulásához, amelyek a következők: vérszegénység (alacsony vörösvérsejtszám), fáradtság, véraláfutásra és vérzésre való hajlam, a lép és a máj megnagyobbodása, csontfájdalmak és csonttörések.

A Vpriv-et 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedő betegeknél alkalmazzák; ez a típus rendszerint a májat, a lépét és a csontokat érinti.

Mivel a Gaucher-kórban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Vpriv-et 2010. június 9-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

A gyógyszer csak receptre kapható.



Hogyan kell alkalmazni a Vpriv-et?

A Vpriv-kezelést a Gaucher-kór kezelésében tapasztalt orvosnak kell felügyelnie.

A Vpriv ajánlott adagja testtömeg-kilogrammonként 60 egység, amelyet kéthetente egyszer, egyórás infúzióban kell beadni. Az adag a beteg tüneteitől és a kezelésre adott válaszreakciójától függően módosítható. Az első három infúziót kórházban kell beadni, míg a következőket otthon is lehet alkalmazni olyan betegeknél, akik a gyógyszert jól tolerálják. Az otthoni infúziók beadását a sürgősségi intézkedések terén képzett egészségügyi szakembernek kell felügyelnie.

Hogyan fejti ki hatását a Vpriv?

A Gaucher-kór a glükocerebrozidáz nevű enzim hiánya miatt alakul ki. A velagluceráz-alfa helyettesíti a Gaucher-kór esetében hiányzó enzimet, így segíti a glükocerebrozid lebomlását és megállítja annak a szervezetben történő felhalmozódását.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Vpriv-et?

Egy fő vizsgálatban, amelyben 35, a Gaucher-kór 1-es típusában szenvedő beteg (köztük 9 gyermek) vett részt, a Vpriv-et imiglucerázzal (a Gaucher-kór kezelésére alkalmazott másik gyógyszer) hasonlították össze. A fő hatékonysági mutató a betegség egyik tünetében, a vérszegénységben bekövetkezett javulás volt 41 hetes kezelés után. A vizsgálat során a betegség más tüneteinek szabályozását is vizsgálták, így például a vérlemezkeszám növekedését, illetve a máj és a lép méretének zsugorodását.

Milyen előnyei voltak a Vpriv alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Vpriv hatásossága megegyezett az imiglucerázzal a vérszegénység csökkentésében. A Vpriv a hemoglobin (a vörösvérsejtek oxigénszállító fehérjéje) mennyiségét átlagosan 1,6 g/dl-rel növelte (11,4 g/dl-ről), míg az imigluceráz átlagosan 1,5 g/dl-rel (10,6 g/dl-ről). A vizsgálat azt is kimutatta, hogy a Vpriv ugyanolyan hatásos a Gaucher-kór egyéb tüneteinek kezelésében, mint az imigluceráz.

Milyen kockázatokkal jár a Vpriv alkalmazása?

A Vpriv leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) az infúzióhoz kapcsolódó reakciók, amelyek közé tartozik a fejfájás, szédülés, alacsony vérnyomás, magas vérnyomás, hányinger, gyengeség, fáradékonyság, láz és a megemelkedett testhőmérséklet. A gyógyszer legsúlyosabb mellékhatásai a túlérzékenységi (allergiás) reakciók.

A Vpriv nem alkalmazható olyan személyeknél, akiknél súlyos allergiás reakció lép fel a velagluceráz-alfával vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben.

A Vpriv alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Vpriv forgalomba hozatalát?

A CHMP megállapította, hogy a Vpriv alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Vpriv biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Vpriv-et forgalmazó vállalat oktatóanyagokat biztosít a Vpriv-et várhatóan alkalmazó orvosok és betegek részére, amelyben tájékoztatást ad arra vonatkozóan, hogy a gyógyszer otthoni beadása esetén hogyan kezeljék az infúzióhoz kapcsolódó reakciók kockázatát.

Az alkalmazási előírás és a betegtájékoztató a Vpriv biztonságos és hatékony alkalmazásával kapcsolatos, az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlásokat és óvintézkedéseket is tartalmaz.

A Vpriv-vel kapcsolatos egyéb információ

2010. augusztus 26-án az Európai Bizottság a Vpriv-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Vpriv-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](#). Amennyiben a Vpriv-vel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Vpriv-re vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](#).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 06-2016.