



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447419/2016
EMA/H/C/001249

EPAR-samenvatting voor het publiek

Vpriv

velaglucerase alfa

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Vpriv. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van Vpriv vast te stellen.

Wat is Vpriv?

Vpriv is een geneesmiddel dat de werkzame stof velaglucerase alfa bevat. Het is verkrijgbaar in de vorm van een poeder voor oplossing voor infusie (indruppeling) in een ader.

Wanneer wordt Vpriv voorgeschreven?

Vpriv wordt gebruikt voor langdurige behandeling van patiënten met de ziekte van Gaucher. De ziekte van Gaucher is een zeldzame erfelijke aandoening. Mensen die aan deze ziekte lijden, hebben een tekort aan het enzym glucocerebrosidase, dat normaliter zorgt voor de afbraak van het vet glucocerebroside. Zonder dat enzym stapelt glucocerebroside zich op in het lichaam, met name in de lever, de milt en het beenmerg, en dit veroorzaakt de symptomen van de ziekte: anemie (laag aantal rode bloedcellen), moeheid, vatbaarheid voor kneuzingen en bloedingen, een vergrote milt en lever, botpijn en breuken.

Vpriv wordt gebruikt bij patiënten die de ziekte van Gaucher type 1 hebben, het type dat meestal de lever, de milt en de botten aantast.

Aangezien het aantal patiënten met de ziekte van Gaucher klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Vpriv op 9 juni 2010 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.



Hoe wordt Vpriv gebruikt?

De behandeling met Vpriv moet plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met het behandelen van patiënten met de ziekte van Gaucher.

De aanbevolen dosis Vpriv is 60 eenheden/kg lichaamsgewicht, welke wordt toegediend als een infuus gedurende één uur, eenmaal in de twee weken. De dosering kan worden aangepast afhankelijk van de symptomen van de patiënt en diens reactie op de behandeling. De eerste drie keer moet het infuus in het ziekenhuis worden toegediend, maar daaropvolgende infusen kunnen eventueel thuis worden gegeven bij patiënten die het geneesmiddel goed verdragen. Thuis gegeven infusen moeten plaatsvinden onder toezicht van een medisch beroepsbeoefenaar die noodmaatregelen kan treffen.

Hoe werkt Vpriv?

De ziekte van Gaucher ontstaat door een tekort aan het enzym glucocerebrosidase. Velaglucerase alfa vervangt het ontbrekende enzym bij patiënten met de ziekte van Gaucher en helpt op die manier glucocerebroside af te breken en de ophoping ervan in het lichaam te stoppen.

Hoe is Vpriv onderzocht?

In een hoofdstudie waaraan 35 patiënten (onder wie 9 kinderen) met de ziekte van Gaucher type 1 deelnamen, werd Vpriv vergeleken met imiglucerase (een ander geneesmiddel voor de behandeling van de ziekte van Gaucher). De belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid was de verbetering na 41 weken van een van de symptomen van de ziekte, te weten anemie (bloedarmoede). De studie keek ook naar de regulering van andere symptomen zoals de toename van het aantal bloedplaatjes en de afname van de omvang van lever en milt.

Welke voordelen bleek Vpriv tijdens de studies te hebben?

Vpriv verminderde de bloedarmoede even effectief als imiglucerase. Vpriv deed het gehalte aan hemoglobine (het eiwit in rode bloedcellen dat zich aan zuurstof bindt) met gemiddeld 1,6 gram per deciliter toenemen (vanaf 11,4 g/dl), terwijl imiglucerase het hemoglobinegehalte met gemiddeld 1,5 g/dl (vanaf 10,6 g/dl) liet stijgen. Uit de studie bleek eveneens dat Vpriv even effectief als imiglucerase de andere symptomen van de ziekte van Gaucher reguleert.

Welke risico's houdt het gebruik van Vpriv in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Vpriv (waargenomen bij meer dan 1 op de 10 patiënten) betreffen infusiegerelateerde reacties, zoals hoofdpijn, duizeligheid, hypotensie (lage bloeddruk), hypertensie (hoge bloeddruk), nausea (misselijkheid), asthenie (zwakte) of vermoeidheid, alsmede pyrexie (koorts) of verhoging. De meest ernstige bijwerkingen betreffen overgevoelighedsreacties.

Vpriv mag niet gebruikt worden bij mensen die in sterke mate overgevoelig zijn voor velaglucerase alfa of enig ander bestanddeel van het middel.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Vpriv.

Waarom is Vpriv goedgekeurd?

Het CHMP heeft geconcludeerd dat de voordelen van Vpriv groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van dit middel.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Vpriv te waarborgen?

De firma die Vpriv in de handel brengt zal voorlichtingsmateriaal verstrekken aan alle artsen en patiënten die naar verwachting Vpriv zullen gebruiken, met informatie over het beheersen van het risico op infusiegerelateerde reacties bij toediening van het geneesmiddel thuis.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die beroepsbeoefenaars in de gezondheidszorg en patiënten moeten naleven voor een veilig en doeltreffend gebruik van Vpriv zijn ook in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter opgenomen.

Overige informatie over Vpriv

De Europese Commissie heeft op 26 augustus 2010 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Vpriv verleend.

Het volledige EPAR voor Vpriv is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau: [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/website/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Vpriv.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Vpriv is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau: [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/website/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 06-2016.