



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447420/2016  
EMEA/H/C/001249

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

### Vpriv

welagluceraza alfa

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Vpriv. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Vpriv do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania leku.

### Co to jest Vpriv?

Vpriv jest lekiem zawierającym substancję czynną welaglucerazę alfa. Produkt ma postać proszku, z którego sporządza się roztwór do wlewu dożylnego.

### W jakim celu stosuje się produkt Vpriv?

Vpriv stosuje się w długotrwałym leczeniu pacjentów z chorobą Gauchera. Choroba Gauchera to rzadkie zaburzenie dziedziczne: chorzy wykazują niedobór enzymu zwanego glukocerebrozydazą, który w normalnych warunkach rozkłada tłuszcz zwaną glukocerebrozydem. Przy braku tego enzymu glukocerebrozyd odkłada się w organizmie, zazwyczaj w wątrobie, śledzionie i kościach, co powoduje wystąpienie objawów chorobowych: anemii (słabe parametry w morfologii krwi), zmęczenia, łatwego siniaczenia oraz skłonności do krwawień, powiększenia śledziony i wątroby oraz bólu i złamań kości.

Produkt Vpriv stosuje się u pacjentów z chorobą Gauchera typu 1, która przeważnie atakuje wątrobę, trzustkę i kości.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z chorobą Gauchera typu 1 choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 9 czerwca 2010 r. produkt Vpriv uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.



## **Jak stosować produkt Vpriv?**

Leczenie produktem Vpriv powinien rozpoczynać i monitorować lekarz posiadający doświadczenie w leczeniu pacjentów z chorobą Gauchera.

Zalecana dawka produktu Vpriv to 60 jednostek/kg masy ciała podawane co dwa tygodnie we wlewie dożylnym trwającym godzinę. Dawkę można dostosować do objawów pacjenta i odpowiedzi na leczenie. Pierwsze trzy wlewy są podawane w szpitalu, ale kolejne można wykonywać w domu, jeśli pacjent dobrze toleruje lek. Wlewy wykonywane w domu powinien nadzorować pracownik służby zdrowia przeszkolony w udzielaniu pomocy w nagłych wypadkach.

## **Jak działa produkt Vpriv?**

Chorobę Gauchera powoduje brak enzymu zwanego glukocerebrozydazą. Welagluceraza alfa zastępuje brakujący enzym w chorobie Gauchera, pomagając w rozkładzie glukocerebrozydu i uniemożliwiając mu odkładanie się w organizmie.

## **Jak badano produkt Vpriv?**

W jednym badaniu głównym z udziałem 35 pacjentów (w tym 9 dzieci) z chorobą Gauchera typu 1 produkt Vpriv porównywano z imiglucerazą (inny lek stosowany w chorobie Gauchera). Głównym kryterium oceny skuteczności było zmniejszenie po 41 tygodniach stopnia ciężkości anemii – jednego z objawów choroby. W badaniu obserwowano również kontrolę innych objawów choroby, tj. zwiększenie liczby płytek we krwi oraz zmniejszenie rozmiaru wątroby i trzustki.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Vpriv zaobserwowano w badaniach?**

Vpriv był tak samo skuteczny w zmniejszaniu stopnia ciężkości anemii jak imigluceraza. Vpriv zwiększał ilość hemoglobiny (białko w czerwonych krwinkach przenoszące tlen) o średnio 1,6 grama na decylitr (z 11,4 g/dl), podczas gdy imigluceraza podwyższała ilość hemoglobiny o średnio 1,5 g/dl (z 10,6 g/dl). Badanie wykazało także, że Vpriv jest równie skuteczny jak imigluceraza w kontrolowaniu innych objawów choroby Gauchera.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Vpriv?**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Vpriv (obserwowane u więcej niż 1 pacjenta na 10) to reakcje związane z wlewem, obejmujące bóle głowy, zawroty głowy, niskie ciśnienie krwi, wysokie ciśnienie krwi, nudności (mdłości), astenię (osłabienie) lub zmęczenie i gorączkę lub podwyższoną temperaturę ciała. Do najpoważniejszych działań niepożądanych należą reakcje nadwrażliwości (alergiczne).

Produktu Vpriv nie wolno stosować u osób, u których występuje ostra reakcja alergiczna na welaglucerazę alfa lub którykolwiek składnik produktu.

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem produktu Vpriv znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Na jakiej podstawie zatwierdzono produkt Vpriv?**

CHMP uznał, że korzyści ze stosowania produktu Vpriv przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu.

## **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Vpriv?**

Firma wprowadzająca produkt Vpriv do obrotu zapewni wszystkim lekarzom i pacjentom mającym stosować lek materiały edukacyjne z informacjami na temat ograniczania ryzyka wystąpienia reakcji związanych z wlewem w przypadku podawania leku w domu.

Oprócz tego w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów w celu bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Vpriv.

### **Inne informacje dotyczące produktu Vpriv:**

W dniu 26 sierpnia 2010 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Vpriv do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Vpriv znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://EMA_website/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Vpriv należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Vpriv znajduje się na stronie internetowej Agencji: [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://EMA_website/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

Data ostatniej aktualizacji: 06.2016.