



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447424/2016  
EMEA/H/C/001249

## Povzetek EPAR za javnost

---

### Vpriv

velagluceraza alfa

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Vpriv. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil to zdravilo, na podlagi česar je oblikoval mnenje za izdajo dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

### Kaj je zdravilo Vpriv?

Vpriv je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino velagluceraza alfa. Na voljo je v obliki praška za pripravo raztopine za infundiranje (kapalne infuzije) v veno.

### Za kaj se uporablja zdravilo Vpriv?

Zdravilo Vpriv se uporablja za dolgotrajno zdravljenje bolnikov z Gaucherjevo boleznijo. Gaucherjeva bolezen je redka dedna napaka, pri kateri bolniku primanjkuje encima glukocerebrosidaze, ki razgrajuje maščobni odpadni produkt, imenovan glukocerebrosid. Ob odsotnosti encima se glukocerebrosid kopiči v telesu, običajno v jetrih, vranici in kostnem mozgu, to pa vodi do nastanka simptomov bolezni: anemije (znižanega števila rdečih krvničk), utrujenosti, povečane verjetnosti za nastanek hematomov in nagnjenosti h krvavitvam, povečane vranice in jeter ter bolečin v kosteh in zlomov kosti.

Zdravilo Vpriv se uporablja pri bolnikih, ki imajo Gaucherjevo bolezen tipa 1, ki običajno prizadene jetra, vranico in kosti.

Ker je bolnikov z Gaucherjevo boleznijo malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Vpriv 9. junija 2010 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Izdaja zdravila je le na recept.



## **Kako se zdravilo Vpriv uporablja?**

Zdravljenje z zdravilom Vpriv mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z Gaucherjevo boleznijo.

Priporočeni odmerek zdravila Vpriv je 60 enot/kg telesne mase, ki se daje v obliki enourne infuzije enkrat vsake dva tedna. Odmerek se lahko prilagodi glede na simptome vsakega posameznega bolnika in njegov odziv na zdravljenje. Prve tri infuzije se daje v bolnišnici, a se lahko pri bolnikih, ki zdravilo dobro prenašajo, naslednje infuzije daje v domači oskrbi. Infundiranje na domu se mora izvajati pod nadzorom zdravstvenega osebja, ki je izurjeno za izredno ukrepanje.

## **Kako zdravilo Vpriv deluje?**

Gaucherjeva bolezen se pojavi zaradi pomanjkanja encima glukocerebrozidaze. Velagluceraza alfa nadomesti manjkajoči encim pri Gaucherjevi bolezni tako, da pomaga razgraditi glukocerebrozid in zaustavi njegovo kopičenje v telesu.

## **Kako je bilo zdravilo Vpriv raziskano?**

V eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 35 bolnikov (vključno z devetimi otroki) z Gaucherjevo boleznijo tipa 1, so zdravilo Vpriv primerjali z imiglucerazo (drugim zdravilom za zdravljenje Gaucherjeve bolezni). Glavno merilo učinkovitosti je bilo izboljšanje anemije, ki je eden od simptomov bolezni, po 41 tednih zdravljenja. V študiji so proučevali tudi nadzor nad drugimi znaki bolezni, kot sta povečanje števila trombocitov v krvi ter zmanjšanje velikosti jeter in vranice.

## **Kakšne koristi je zdravilo Vpriv izkazalo med študijami?**

Zdravilo Vpriv je bilo pri zmanjševanju anemije enako učinkovito kot imigluceraza. Zdravilo Vpriv je količino hemoglobina (beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki prenašajo kisik) v povprečju povečalo za 1,6 grama na deciliter (z vrednosti 11,4 g/dl), medtem ko je imigluceraza količino hemoglobina v povprečju povečala za 1,5 g/dl (z vrednosti 10,6 g/dl). Študije so pokazale, da je zdravilo Vpriv enako učinkovito kot imigluceraza tudi pri nadzoru drugih simptomov Gaucherjeve bolezni.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Vpriv?**

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Vpriv (opaženi pri 1 bolniku od 10) so povezani z infundiranjem in vključujejo glavobol, omotico, hipotenzijo (nizek krvni tlak), hipertenzijo (visok krvni tlak), navzejo (slabost), astenijo (šibkost) ali utrujenost ter pireksijo (povišano telesno temperaturo). Najresnejši neželeni učinki so preobčutljivostne (alergijske) reakcije.

Zdravila Vpriv ne smejo uporabljati osebe, ki imajo hudo alergijsko reakcijo na velaglucerazo alfa ali katero koli drugo sestavino zdravila.

Za celoten seznam vseh neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Vpriv glejte navodilo za uporabo.

## **Zakaj je bilo zdravilo Vpriv odobreno?**

CHMP je zaključil, da so koristi zdravila Vpriv večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj izda dovoljenje za promet.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Vpriv?**

Družba, ki trži zdravilo Vpriv, bo vsem zdravnikom in bolnikom, ki naj bi uporabljali to zdravilo, priskrbela izobraževalno gradivo z navodili, kako obvladati tveganja, povezana z infundiranjem, če se zdravilo daje v domači oskrbi.

V povzetek glavnih značilnosti zdravila Vpriv in navodila za njegovo uporabo so bili vključeni priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki za njegovo varno in učinkovito uporabo.

## **Druge informacije o zdravilu Vpriv**

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Vpriv, veljavno po vsej Evropi, izdala 26. avgusta 2010.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Vpriv je na voljo na spletni strani agencije [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://EMA.website/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Vpriv preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Vpriv je na voljo na spletni strani agencije [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://EMA.website/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 06-2016.