



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/329151/2022
EMA/H/C/004850

Хепрозуме (олипудаза алфа)

Общ преглед на Хепрозуме и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Хепрозуме и за какво се използва?

Хепрозуме е лекарство за лечение на пациенти с дефицит на кисела сфингомиелиназа (ASMD), генетично заболяване, известно преди като болест на Niemann-Pick тип А, А/В и В. Болестта на Niemann-Pick е три вида (А, В и С) с различни генетични причини и различни симптоми. Хепрозуме се използва за лечение на пациенти с тип А/В или тип В. Предназначен е за лечение на симптомите на ASMD, които не са свързани с мозъка.

Болестта на Niemann-Pick се счита за рядко заболяване и Хепрозуме е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 05 декември 2016 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-01-056.

Хепрозуме съдържа активното вещество олипудаза алфа (olipudase alfa).

Как се използва Хепрозуме?

Хепрозуме се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се провежда под наблюдението на медицински специалист с опит в лечението на ASMD или други наследствени метаболитни нарушения. Хепрозуме трябва да се прилага от медицински специалист с достъп до подходяща медицинска помощ за овладяване на потенциални тежки реакции, като например реакции на свръхчувствителност (алергични реакции), засягащи цялото тяло (вж. раздела за рисковете по-долу).

Хепрозуме се прилага под формата на инфузия (вливане) във вена на всеки две седмици. Препоръчителната доза зависи от телесното тегло на пациента. Лечението започва с ниска доза, която се увеличава постепенно до достигане на препоръчителната доза, обикновено след 14 до 16 седмици. В зависимост от дозата продължителността на инфузията варира между 18 и 220 минути (почти 3,7 часа).

За повече информация относно употребата на Хепрозуме вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.



Как действа Хепрозуме?

Поради наличието на генетична мутация при пациенти с ASMD тип А, А/В и В липсва един функциониращ ензим, кисела сфингомиелиназа, която се намира в лизозомите (части от клетките на тялото, които разграждат хранителните вещества и други материали) и е необходима за разграждането на определени мазнини. Последващото натрупване на мазнини променя начина на действие на клетките и те умират, като се засяга нормалното функциониране на тъканите и органите, включително черния дроб, далака, белите дробове, сърцето и мозъка.

Активното вещество в Хепрозуме, олипудаза алфа, е копие на естествения ензим кисела сфингомиелиназа. Очаква се тя да замени дефектния ензим на пациентите и по този начин да намали натрупването на мазнини в лизозомите и да облекчи някои от симптомите на заболяването. Не се очаква обаче тя да подобри симптомите, засягащи мозъка, тъй като лекарството не може да премине кръвно-мозъчната бариера, която разделя кръвта от мозъчната тъкан.

Какви ползи от Хепрозуме са установени в проучванията?

Доказано е, че Хепрозуме подобрява функцията на белите дробове и намалява обема на далака както при възрастни, така и при деца.

В едно основно проучване, проведено с участието на 36 възрастни пациенти с ASMD тип В или тип А/В, подобрението на белодробната функция е измерено, като се разглежда промяната в разсейващия капацитет на белите дробове за въглероден монооксид (DLco), вид газ, използван в малки количества, за да се измери количеството на кислорода, което преминава от белите дробове към кръвта. След една година на лечение увеличението на DLco е по-голямо в групата на пациентите, получаващи Хепрозуме (средно 22% увеличение), в сравнение с групата, получаваща плацебо, сляпо лечение (средно 3% увеличение). По данни от наблюдението на други заболявания, засягащи белите дробове, увеличение, по-голямо от 15%, се счита за значимо подобрение.

В допълнение след една година лечение обемът на далака при пациентите, приемащи Хепрозуме, намалява средно с 39%, докато при пациентите, приемащи плацебо, се увеличава средно с 0,5%. На базата на болестта на Gaucher (друго генетично заболяване, при което мазнините се натрупват в далака и други органи) намаляване на обема на далака, по-голямо от 30%, се счита за клинично значимо.

Проведено е второ основно проучване с участието на 20 пациенти на възраст под 18 години (4 юноши, 9 деца, 7 кърмачета/малки деца), всички от които приемат Хепрозуме. Данните са, че лекарството действа по един и същ начин и има едни и същи ефекти при деца и възрастни. Наблюдавани са също подобрения във функцията на белите дробове и обема на далака със средно увеличение на DLco от 33% и намаляване на обема на далака с 49% след една година на лечение.

Какви са рисковете, свързани с Хепрозуме?

Най-честите нежелани реакции при Хепрозуме (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са главоболие, повишена температура, сърбеж, уртикария (сърбящ обрив), гадене (позиви за повръщане), повръщане, абдоминална (коремна) болка, мускулна болка и повишено ниво на С-реактивен протеин в кръвта (маркер за възпаление). В клинични изпитвания свързани с инфузията реакции, включително свръхчувствителност (алергични реакции), са настъпили при повече от 1 от 2 възрастни и при около 2 от 3 деца.

Сериозните нежелани реакции, съобщени по време на клиничните изпитвания, са екстрасистоли (допълнителни сърдечни удари, които прекъсват нормалния сърдечен ритъм) при пациент, който вече е имал увреждане на сърдечния мускул. При деца са съобщени анафилактична реакция (внезапна, тежка алергична реакция) и тежки случаи на уртикария, обрив, свръхчувствителност и повишено ниво на аланин аминотрансфераза в кръвта (чернодробен ензим). Сериозните реакции на свръхчувствителност, свързани с инфузията, са по-чести при деца, отколкото при възрастни.

За пълния списък на нежеланите реакции, съобщени при Xenprozyme, вижте листовката.

Защо Xenprozyme е разрешен за употреба в ЕС?

Възможностите за лечение на пациенти с ASMD са много ограничени. Доказано е, че Xenprozyme осигурява клинично значими ползи за пациенти с ASMD тип В или тип А/В, като подобрява функцията на белите дробове и намалява обема на далака. По отношение на безопасността нежеланите реакции при Xenprozyme като цяло са леки до умерени. Могат да се появят по-сериозни нежелани реакции, по-специално тежки алергични реакции, но те се считат за подлежащи на овладяване чрез прилаганите мерки за свеждане на риска до минимум. Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от Xenprozyme са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Xenprozyme?

Фирмата, която предлага Xenprozyme, следва да разпространи обучителни материали за медицинските специалисти, пациентите или полагащите грижи лица, за да се подпомогне управлението на риска от сериозни нежелани реакции, особено тежки алергични реакции, свързани с инфузията. Те включват информация за признаците и симптомите, за които трябва да се следи, и препоръчителните действия, ако се появят нежелани реакции.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Xenprozyme, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Xenprozyme непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Xenprozyme, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Xenprozyme:

Допълнителна информация за Xenprozyme можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xenprozyme.