



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/763262/2010
EMA/H/C/000640

Kokkuvõte üldsusele

Naglazyme

galsulfaas

Käesolev dokument on ravimi Naglazyme Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiloa andmist; samuti esitatakse komitee soovitused, kuidas ravimit kasutada.

Mis on Naglazyme?

Naglazyme on infusioonilahus (veeni tilgutatav lahus), mis sisaldab toimeainena galsulfaasi.

Milleks Naglazymet kasutatakse?

Naglazymet kasutatakse nende patsientide raviks, kellel on mukopolüsahharidoos VI (MPS VI ehk Maroteaux-Lamy sündroom). Seda haigust põhjustab ensüümi N-atsetüülgalaktosamiin-4-sulfataasi puudulikkus. Seda ensüümi on vaja süsivesikute glükosaminoglükaanide (GAG) lõhustamiseks organismis. Kui seda ensüümi ei ole, ei saa organism glükosaminoglükaane lõhustada ning need kogunevad rakkudesse. See põhjustab haigusnähte, millest kõige märgatavamad on lühike keha, suur pea ja liikumisraskused. Haigus diagnoositakse tavaliselt 1–5-aastastel väikelastel.

Et MPS VI patsientide arv on väike ja haigus esineb harva, nimetati Naglazyme 14. veebruaril 2001 harvikravimiks.

Naglazyme on retseptiravim.

Kuidas Naglazymet kasutatakse?

Ravi Naglazymega võib toimuda üksnes MPS VI või sarnaste haigustega patsientide ravis kogunud arsti järelevalve all. Ravimit võib manustada juhul, kui võimalikuks hädaolukorraks on olemas elustamisvahendid.



Naglazymet manustatakse neljatunnise infusioonina üks kord nädalas. Soovitatav annus on 1 mg kehakaalu kilogrammi kohta. Enne iga infusiooni tuleb patsientidele allergilise reaktsiooni vähendamiseks anda antihistamiini. Patsientidele võib anda ka mõnda ravimit palaviku ennetamiseks.

Kuidas Naglazyme toimib?

Neglazymega tehakse ensüümasendusravi. Ensüümasendusravi käigus manustatakse patsiendile puuduvat ensüümi. Naglazyme toimeaine galsulfaas on inimese ensüümi N-atsetüülgalaktosamiin-4-sulfataasi koopia. Naglazyme aitab lõhustada glükosaminoglükaane ning peatab nende kuhjumise rakkudesse. See võib leevendada MPS VI sümptomeid, sealhulgas patsientide võimet ringi liikuda.

Galsulfaasi valmistatakse rekombinant-DNA-tehnika abil: seda toodab rakk, millele on lisatud ensüümi teket võimaldav geen (DNA).

Kuidas Naglazymet uuriti?

Naglazymet võrreldi platseeboga (näiv ravim) ühes põhiuuringus, kus osales 39 MPS VI-ga patsienti vanuses 5–29 aastat. Efektiivsuse põhinäitajaks oli vahemaa, mida patsiendid suutsid kõndida pärast 24-nädalast ravi.

Milles seisnes uuringute põhjal Naglazyme kasulikkus?

Naglazyme oli platseebost efektiivsem. Pärast 24 nädalat kestnud ravi suurenes Naglazymega ravitud patsientidel 12 minuti jooksul läbitud vahemaa 109 meetri võrra ja platseebot saanud patsientidel 18 meetri võrra.

Mis riskid Naglazymega kaasnevad?

Uuringutes olid Naglazyme kõige sagedamad kõrvalnähud (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) kõrvavalu, düspnoe (hingamisraskused), kõhuvalu, üldine valu. Patsientidel võivad tekkida reaktsioonid infusioonile (nagu palavik, külmavärinad, lööve ja nahapõletik). Naglazyme kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Naglazymet ei tohi kasutada patsiendid, kes võivad olla galsulfaasi või selle ravimi mis tahes muu koostisaine suhtes ülitundlikud (allergilised).

Miks Naglazyme heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et Naglazyme kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas anda ravimi müügiloa.

Inimravimite komitee märkis, et kuigi alla viieaastased patsiendid Naglazyme põhiuuringus ei osalenud, on nende ravimine oluline, kui neil on raskekujuline MPS VI.

Naglazymele anti müügiluba erandkorras. Et see haigus esineb harva, ei ole olnud võimalik saada Naglazyme kohta täielikku teavet. Euroopa Raviamet vaatab kõik võimalikud uued andmed igal aastal läbi ja vajaduse korral uuendab käesolevat kokkuvõtet.

Mis teavet Naglazyme kohta veel oodatakse?

Naglazyme tootja korraldab uuringud, et uurida Naglazyme pikaajalist ohutust ja efektiivsust rasedatel ja rinnaga toitvatel naistel ning alla viieaastastel lastel, et jõuda selgusele, kas neil tekivad antikehad (valgud, mis tekivad organismis reaktsioonina Naglazymele ja mis võivad mõjutada ravivastust), ning

et uurida ravimi kõrvalnähte. Lisaks korraldab tootja uuringud, et teha kindlaks, milline on tõhusaim annus korrapärase ja pikaajalise kasutamise korral.

Muu teave Naglazyme kohta

Euroopa Komisjon andis Naglazyme müügiluba, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, ettevõttele BioMarin Europe Limited 24. jaanuaril 2006. Müügiluba on tähtajatu.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Naglazyme kohta on ameti veebilehel: [website ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://website.ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Naglazyme kohta on ameti veebilehel:

[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Kui vajate Naglazymega toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 12-2010