

EMA/741937/2015
EMA/H/C/000477

Julkinen EPAR-yhteenveto

Aldurazyme

laronidaasi

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Aldurazyme-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt puoltavaan lausuntoon myyntiluvan myöntämisestä sekä suosituksiin Aldurazyme-lääkevalmisteen käytön ehdoista.

Mitä Aldurazyme on?

Aldurazyme on infuusioliuos (tiputettavaksi laskimoon), joka sisältää vaikuttavana aineena laronidaasia.

Mihin Aldurazymea käytetään?

Aldurazymea käytetään entsyymien korvaushoitoon potilailla, joilla on diagnosoitu mukopolysakkaridoosi I (MPS I; α -L-iduronidaasin puutos), taudin muiden kuin neurologisten oireiden (jotka eivät liity aivoihin tai hermostoon) hoitoon. MPS I on harvinainen perinnöllinen tauti, jossa α -L-iduronidaasi-entsyymien aktiivisuus on paljon normaalia alempi. Tämän seurauksena glykosaminoglykaani-nimiset aineet (GAG:t) eivät hajoa, vaan ne kertyvät useimpiin kehon elimiin ja vahingoittavat niitä. MPS I:n muita kuin neurologisia oireita voivat olla laajentunut maksa, liikkumista vaikeuttavat jäykät nivelet, keuhkojen tilavuuden pienentyminen, sydän- ja silmäsairaudet.

Lääkevalmistetta saa vain lääkärin määräyksestä.

Kuinka Aldurazymea käytetään?

Aldurazyme-hoito on annettava sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta MPS I:n tai muiden perinnöllisiä aineenvaihduntasairauksia sairastavien potilaiden hoidosta. Aldurazyme on annettava sellaisessa sairaalassa tai klinikassa, jossa on elvytyslaitteita, ja potilaille on mahdollisesti annettava allergista reaktiota ehkäisevää lääkitystä ennen infuusiota. Aldurazyme annetaan kerran viikossa laskimonsisäisenä infuusiona. Valmiste on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

Miten Aldurazyme vaikuttaa?

Aldurazymen vaikuttava aine laronidaasi on ihmisen α -L-iduronidase-entsyymien kopio. Sitä tuotetaan yhdistelmä-DNA-tekniikalla: entsyymien valmistavat solut, joihin on viety laronidaasin tuottamisen mahdollistava geenin (DNA). Laronidaasia käytetään entsyymikorvaushoitona, mikä tarkoittaa sitä, että se korvaa MPS I:tä sairastavilta potilailta puuttuvan entsyymien. Näin MPS I:n oireita saadaan hallintaan, mikä parantaa potilaan elämänlaatua.

Miten Aldurazymeä on tutkittu?

Aldurazymeä on verrattu lumelääkkeeseen 45:llä yli kuusivuotiaalla potilaalla, joiden diagnoosiksi on vahvistettu MPS I. Tehon pääasiallisena mittana oli keuhkojen toimintaa mittaava nopea vitaalikapasiteetti eli FVC sekä matka, jonka potilaat pystyivät kävelemään kuuden minuutin aikana. Näitä mitattiin ennen 26 viikkoa kestänyttä hoitoa ja sen jälkeen. Tämän jälkeen tutkimus jatkui neljä vuotta, joiden aikana kaikkia potilaita hoidettiin Aldurazymellä.

Aldurazymeä tutkittiin myös 20:lla alle 5-vuotiaalla lapsella, joille annettiin Aldurazymeä vuoden ajan. Tutkimuksessa kiinnitettiin pääasiassa huomiota lääkkeen turvallisuuteen, mutta siinä mitattiin myös sen kykyä pienentää virtsan GAG-pitoisuuksia sekä maksan kokoa.

Mitä hyötyä Aldurazymestä on havaittu tutkimuksissa?

Tutkimus osoitti, että Aldurazyme paransi sekä FVC:tä että potilaiden kävelemiskykyä 26. viikon kohdalla. Tämä vaikutus säilyi jopa neljä vuotta.

Alle viisivuotiaalla lapsilla Aldurazyme pienensi virtsan GAG-pitoisuuksia n. 60 %. Hoidetuista lapsista puolella oli normaalikokoinen maksa tutkimuksen lopussa.

Mitä riskejä Aldurazymeeseen liittyy?

Useimmat Aldurazymen käytön yhteydessä havaitut sivuvaikutukset aiheutuvat enemmän infuusiotoimenpiteestä kuin lääkkeestä itsestään. Jotkut näistä vaikutuksista ovat vakavia, mutta sivuvaikutusten määrä vaikuttaa vähenevän ajan myötä. Yleisimpiä sivuvaikutuksia yli viisivuotiaalla lapsilla ovat (useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) ovat päänsärky, pahoinvointi, vatsakivut, ihottuma, arthropatia (nivelsairaus), artralgia (nivelpipu), selkäkipu, raajojen (kätet ja jalat) kipu, punoitus, pyreksia (kuume) sekä infuusiokohdan reaktiot. Alle viisivuotiaalla potilailla yleisimpiä sivuvaikutuksia ovat (useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) kohonnut verenpaine, happipitoisuuden lasku (keuhkotoimintojen mitta), takykardia (sydämen taajalyöntisyys), pyreksia sekä vilunväreet. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Aldurazymen ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Melkein kaikki Aldurazymeä saaneet potilaat kehittivät vasta-aineita (proteiineja, joita muodostuu Aldurazymeä käytettäessä). Näiden vaikutusta lääkkeen turvallisuuteen ja tehokkuuteen ei täysin tunneta.

Henkilöt, jotka ovat voimakkaasti allergisia laronidaasille tai lääkkeen muille ainesosille, eivät saa käyttää Aldurazymeä.

Miksi Aldurazyme on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea katsoi, että Aldurazyme auttaa tehokkaasti hallitsemaan MPS I:n oireita. Komitea katsoi, että Aldurazymen edut ovat sen haittoja suuremmat ja suositteli myyntiluvan myöntämistä Aldurazymelle.

Aldurazyme sai alun perin myyntiluvan ns. poikkeuksellisissa olosuhteissa, koska myöntämishetkellä sairaudesta oli käytettävissä vain vähän tietoa sen harvinaisuuden vuoksi. Kun yhtiö toimitti pyydetyt lisätiedot, poikkeusolosuhteiden katsottiin päättyneen 16. joulukuuta 2015.

Muita tietoja Aldurazymestä

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Aldurazymeä varten 10. kesäkuuta 2003.

Aldurazymeä koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisätietoja Aldurazyme-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 11-2015.