



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/246404/2010
EMA/H/C/001032

EPAR-yhteenveto

Firdapse¹

amifampridiini

Tämä on tiivistelmä Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee lääkevalmistetta nimeltä Firdapse. Asiakirjassa selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon sekä suosituksiin Firdapsen käytön ehdoista.

Mitä Firdapse on?

Firdapse on lääke, jonka vaikuttava aine on amifampridiini. Lääkevalmistetta saa tabletteina (10 mg).

Mihin Firdapsea käytetään?

Firdapsea käytetään Lambert-Eatonin myasteenisen oireyhtymän (LEMS) oireiden hoitoon aikuisilla. LEMS on sairaus, joka aiheuttaa potilaille lihasheikkoutta siksi, että hermot eivät pysty välittämään sähköisiä impulsseja lihaksiin.

Koska LEMS:ää sairastavien potilaiden määrä on vähäinen, tauti katsotaan harvinaiseksi, minkä vuoksi Firdapse luokiteltiin 18. joulukuuta 2002 harvinaislääkkeeksi (harvinaisten tautien hoidossa käytettävä lääke).

Lääkevalmistetta saa vain lääkärin määräyksestä.

Miten Firdapsea käytetään?

Firdapse-hoito aloitetaan vain LEMS:n hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Firdapsen suositeltu aloitusannos on 15 mg päivässä. Annosta voidaan nostaa 5 mg neljän tai viiden päivän välein korkeintaan 60 mg:aan päivässä. Firdapse otetaan jaettuina annoksina kolme tai neljä

¹ Aikaisemmin lääkevalmisteesta käytettiin nimeä Zenas.



kertaa päivässä, eikä kerta-annos saa olla suurempi kuin 20 mg. Fridapse on otettava aterian yhteydessä.

Miten Fridapse vaikuttaa?

Jotta lihakset supistuisivat, hermojen on välitettävä niihin sähköisiä impulsseja asetyylikoliini-nimisen kemiallisen välittäjäaineen avulla. Asetyylikoliinia vapautuu hermopäätteistä depolarisaatioksi kutsutun vaiheen aikana.

Firdapsen vaikuttava aine amifampridiini on kaliumkanavan salpaaja, joka estää varautuneiden kaliumhiukkasten ulospääsyä hermosoluista. Näin pidentyy depolarisaatiovaiheen kesto, jolloin hermoista vapautuu pidemmän aikaa asetyylikoliinia, mikä stimuloi lihasten supistumista.

Miten Fridapsea on tutkittu?

Koska amifampridiinia sisältäviä lääkkeitä on käytetty Euroopan unionin alueella jo yli 20 vuotta, lääkeyhtiö toimitti tieteellisestä kirjallisuudesta peräisin olevia amifampridiinia koskevia tutkimustuloksia Firdapsen käytön tueksi. Kahdessa julkaistussa tutkimuksessa, joihin osallistui 38 LEMS:ää sairastavaa aikuista, amifampridiinia verrattiin lumelääkkeeseen. Tehoa mitattiin pääasiassa arvioimalla sitä, miten hyvin lihakset toimivat. Arvioinnit pisteytettiin joko neurologista toiminnanvajaustestiä (NDS) tai kvantitatiivista myastenia gravis -asteikkoa (QMG) käyttäen. Pienen NDS- tai QMG-pistemäärän saaneiden potilaiden lihakset toimivat paremmin. Toisessa tutkimuksessa yhdistettiin kahden julkaistun tutkimuksen aineistot, ja siinä tarkasteltiin yhdistettyä lihastoimintapotentiaalia (CMAP). CMAP mittaa lihasten sähköistä toimintaa. Lisäksi tutkittiin Firdapsen vaikutusta QT-aikaan (sydämen sähköinen toiminta).

Mitä hyötyä Fridapsesta on havaittu tutkimuksissa?

Fridapse oli lumelääkettä tehokkaampi hoidettaessa LEMS:ää sairastavia potilaita. Yhdessä tutkimuksessa NDS-pisteet laskivat 40:stä 22:een Fridapsea käyttävillä potilailla. Lumelääkettä saaneiden potilaiden pisteet laskivat 35:een. Toisessa tutkimuksessa Fridapsea käyttävien potilaiden pisteet QMG-asteikolla laskivat kaksi pistettä, kun taas lumelääkettä saaneiden potilaiden pisteet nousivat 0,25 pistettä. Kolmannessa tutkimuksessa, jossa oli yhdistetty kahden tutkimuksen aineistot, Fridapse paransi potilaiden lihastoimintapotentiaalia (CMAP) enemmän kuin lumelääke. QT-aikaan liittyneessä tutkimuksessa siihen osallistuneiden vapaaehtoisten terveiden henkilöiden sydänsähkökäyrän perusteella havaittiin, ettei amifampridiini vaikuta sydämen toimintaan.

Mitä riskejä Firdapsen liittyy?

Yleisimmät Firdapsen ilmoitetut sivuvaikutukset ovat parestesia (epätavalliset tuntemukset, kuten pistely ja puutuminen) ja maha-suolikanavan häiriöt, kuten epigastralgia (keskiylävatsakipu), ripuli, pahoinvointi ja mahakipu.

Valmistetta ei saa antaa potilaille, joilla on epilepsia tai astma, joka ei ole hallinnassa, eikä potilaille, joilla on synnynnäinen QT-oireyhtymä (sydämensykkeen häiriöitä aiheuttava sairaus). Sitä ei saa käyttää samanaikaisesti sultopridin (erään psykoosilääkkeen) tai sellaisten lääkkeiden kanssa, joiden tiedetään aiheuttavan QTc-ajan pitenemistä (muutos sydämen sähköisessä toiminnassa). Sitä ei myöskään saa käyttää sellaisten lääkkeiden kanssa, joiden terapeuttinen alue on kapea. Lääke, jonka terapeuttinen alue on kapea, voi aiheuttaa helposti sivuvaikutuksia, mikäli sitä käytetään hieman suositeltua annosta isompana annoksena.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Firdapsen ilmoitetuista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Firdapse on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Firdapsen hyöty on sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Firdapse on hyväksytty poikkeuksellisissa olosuhteissa. Tämä tarkoittaa sitä, että koska sairaus on harvinainen, Firdapsesta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Firdapsesta odotetaan vielä saatavan?

Firdapsea valmistava lääkeyhtiö toimittaa lisätietoa syöpätutkimuksista koemalleilla.

Miten voidaan varmistaa Firdapsen turvallinen ja tehokas käyttö?

Firdapsen mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on kehitetty riskinhallintasuunnitelma. Tämän suunnitelman mukaisesti Firdapsen valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty turvallisuustietoa, mukaan lukien terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi tarkoitetut asianmukaiset varotoimet.

Lisäksi Firdapsea markkinoivan yhtiön edellytetään perustavan potilasrekisterin LEMSiä sairastavista potilaista. Yritys varmistaa, että terveydenhuoltohenkilöstö, jonka oletetaan käyttävän kyseistä lääkevalmistetta, saa tietoa siitä, miten he kirjaavat potilaansa rekisteriin.

Muita tietoja Firdapsesta

Euroopan komissio myönsi myyntiluvan koko EU:n alueella Zenasia varten 23. joulukuuta 2009. Lääkkeen uudeksi nimeksi tuli Firdapse 28. tammikuuta 2010.

Firdapsen EPAR-arviointilausunto on saatavissa kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolta osoitteesta ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Lisätietoja Firdapse-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Firdapsesta antamasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 04-2014.