



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Naglazyme

galsulfaasi

Tämä asiakirja on tiivistelmä Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Naglazyme-valmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkettä ja päätynyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon sekä Naglazymen käyttöehtoja koskeviin suosituksiin.

Mitä Naglazyme on?

Naglazyme(1 mg/ml).

Mihin Naglazymeä käytetään?

Naglazymeä käytetään mukopolysakkaridoosia VI (MPS VI eli Maroteaux-Lamyn oireyhtymä) sairastavien potilaiden hoitoon. Sairaus aiheutuu N-asetyyyligalaktosamiini 4-sulfataasi -nimisen entsyymin puutoksesta. Tätä entsyymiä tarvitaan pilkkomaan glykosaminoglykaaneiksi (GAG:t) kutsuttuja aineita kehossa. Ellei kehossa ole tätä entsyymiä, glykosaminoglykaanit eivät voi pilkkoutua, vaan ne kerääntyvät soluihin. Tämä aiheuttaa sairauden merkit, joista havaittavimpia ovat lyhyt vartalo, suuri pää ja liikkumisvaikeudet. Sairaus diagnosoidaan lapsilla yleensä 1 – 5 vuoden iässä.

Koska MPS VI:ta sairastavien potilaiden määrä on pieni, sairaus katsotaan harvinaiseksi, minkä vuoksi Naglazyme luokiteltiin 14. helmikuuta 2001 harvinaislääkkeeksi (lääke, jota käytetään harvinaisten sairauksien hoitoon).

Lääkettä saa vain lääkärin määräyksestä.

Miten Naglazymeä käytetään?

Naglazyme-hoito on annettava sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta MPS VI:n tai samankaltaisten sairauksien hoidosta. Hoito on annettava paikassa, jossa on elvytyslaitteisto hätätapauksen varalta.



Naglazymeä annetaan neljä tuntia kestävästä infuusiosta kerran viikossa. Suositeltu annos on 1 mg painokiloa kohti. Ennen kutakin infuusiota potilaalle on annettava antihistamiinia vähentämään allergisen reaktion riskiä. Potilaalle voidaan antaa myös kuumetta estävää lääkettä.

Miten Naglazyme toimii?

Naglazyme on entsyymikorvaushoito. Entsyymikorvaushoidossa potilaalle annetaan häneltä puuttuvaa entsyymiä. Naglazymen vaikuttava aine galsulfaasi on kopio ihmisen N-asetyyyligalaktosamiini 4-sulfataasi -entsyymistä. Naglazyme auttaa hajottamaan GAG:t ja estää niiden kerääntymistä soluihin. Tämä voi parantaa MPS VI:n oireita, kuten liikkumiskykyä.

Galsulfaasia valmistetaan yhdistelmä-DNA-menetelmällä: sitä tuottaa solu, joka siihen lisätyn geenin (DNA) avulla pystyy tuottamaan kyseistä entsyymiä.

Miten Naglazymeä on tutkittu?

Naglazymeä verrattiin lumelääkkeeseen yhdessä päätutkimuksessa. Siihen osallistui 39 MPS VI – potilasta, joiden ikä oli 5–29 vuotta. Tehokkuuden tärkeimpänä mittana oli se, miten pitkälle potilaat pystyivät kävelemään 24 viikon hoidon jälkeen.

Mitä hyötyä Naglazymestä on havaittu tutkimuksissa?

Naglazyme oli tehokkaampi kuin lumelääke. 24 hoitoviikon jälkeen Naglazyme-hoitoa saaneiden potilaiden 12 minuutissa kävelemä keskimääräinen matka piteni 109 metriä verrattuna lumelääkettä saaneiden potilaiden 18 metrin lisäykseen.

Mitä riskejä Naglazymeen liittyy?

Tutkimuksissa yleisimmät Naglazymen sivuvaikutukset (useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) olivat korvakipu, hengenahdistus, vatsakipu ja yleinen kipu. Potilaille voi tulla myös infuusion aiheuttamia reaktioita (kuten kuume, vilunväristykset, ihottuma ja nokkosihottuma). Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Naglazymen ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Naglazymeä ei pidä antaa henkilöille, jotka voivat olla allergisia (yliherkkiä) galsulfaasille tai Naglazymen jollekin muulle aineelle.

Miksi Naglazyme on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea katsoi Naglazymen hyödyn olevan sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Vaikka alle 5-vuotiaita lapsia ei ollutkaan mukana Naglazymeä koskevassa päätutkimuksessa, komitea katsoi olevan tärkeää, että he saavat hoitoa, jos heillä on MPS VI:n vakava muoto.

Naglazymelle on myönnetty myyntilupa poikkeusolosuhteissa. Tämä tarkoittaa, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Naglazymesta ei ole saatu täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot ja päivittää tätä yhteenvetoa tarvittaessa.

Mitä tietoja Naglazymesta odotetaan vielä saatavan?

Naglazymeä valmistava yritys tekee parhaillaan tutkimuksia, joissa selvitetään Naglazymen pitkäaikaista turvallisuutta ja tehokkuutta raskaana olevilla ja imettävillä naisilla sekä alle viisivuotiailla

lapsilla sen selvittämiseksi, kehittävätkö potilaat vasta-aineita (elimistön vastareaktionä Naglazymelle tuottamia proteiineja, jotka saattavat vaikuttaa hoitovasteeseen), sekä lääkkeen sivuvaikutuksia. Lisäksi yhtiö tekee tutkimuksia pitkäaikaisessa hoidossa annettavan parhaan annoksen määrittämiseksi.

Muita tietoja Naglazymestä

Euroopan komissio myönsi BioMarin Europe Limited -yhtiölle koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Naglazymeä varten 24. tammikuuta 2006. Myyntilupa on voimassa toistaiseksi.

Harvinaislääkekomitean Naglazymestä antaman lausunnon tiivistelmä on viraston verkkosivustolla kohdassa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Naglazyme-valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan EMAn verkkosivustolla kohdassa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports).

Lisätietoja Naglazyme-hoidosta saat pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon) tai lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 12-2010.