



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/645188/2022
EMA/H/C/005352

Upstaza (eladokageenieksuparvoveekki)

Yleistiedot Upstazasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Upstaza on ja mihin sitä käytetään?

Upstaza on geenihoidolääke, jota käytetään aikuisilla ja vähintään 18 kuukauden ikäisillä lapsilla, joilla on geneettisesti vahvistettu diagnoosi vaikeasta aromaattisten L-aminohappojen dekarboksylaasin (AADC) puutoksesta.

AADC-puutos on perinnöllinen sairaus, joka vaikuttaa hermostoon ja aiheuttaa oireita, kuten kehitysviiveitä, heikkoa lihasjänteystä ja kyvyttömyyttä hallita raajojen liikettä.

AADC-puutos on harvinainen sairaus, ja Upstaza nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 18. marraskuuta 2016. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161786.

Upstaza on pitkälle kehitetyissä hoidoissa käytettävä geenihoidovalmiste. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla geenejä elimistöön.

Upstaza sisältää eladokageenieksuparvoveekkia. Se on AADC-geenin toiminnallinen versio muunnetun viruksen (adenoassosioidun virusvektorin) sisällä. Tässä lääkkeessä käytetyn viruksen ei tiedetä aiheuttavan sairautta ihmisille.

Miten Upstazaa käytetään?

Upstazaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Se annetaan nukutetulle potilaalle leikkaussalissa ja antajana on aivokirurgi. Se annetaan infuusiona aivoihin. Infuusion jälkeen potilaan aivot kuvataan. Lääkäri seuraa potilaan toipumista sekä leikkauksen ja hoidon mahdollisia haittavaikutuksia.

Lisätietoja Upstazan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Upstaza vaikuttaa?

AADC-puutos johtuu AADC-entsyymiä tuottavan geenin mutaatioista. Tätä entsyymiä tarvitaan tuottamaan dopamiinia, välittäjäainetta, joka on tärkeä liikkeiden hallinnassa. Potilailla, joilla on AADC-puutos, ei ole kunnolla toimivaa versiota tästä entsyymistä, minkä seurauksena aivoissa on hyvin vähän tai ei lainkaan dopamiinituotantoa. Lääke koostuu viruksesta, joka sisältää toimivan version AADC-geenistä. Potilaalle annettuna viruksen odotetaan kuljettavan AADC-geenin hermosoluihin, jolloin ne pystyvät tuottamaan puuttuvaa entsyymiä. Tämän puolestaan odotetaan mahdollistavan sen,

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



että solut voivat tuottaa dopamiinia, jota ne tarvitsevat toimiakseen kunnolla, mikä lievittää sairauden oireita.

Mitä hyötyä Upstazasta on havaittu tutkimuksissa?

Upstazan hyödyt osoitettiin kolmessa päätutkimuksessa. Niihin osallistui 28 iältään 1,5–8,5-vuotiaasta lasta, joilla oli geenitestillä vahvistettu vaikea AADC-puutos. Tehon pääasiallisina mittoina olivat pään hallinta ja kyky istua ilman apua. Tutkimukset osoittivat, että noin 70 prosenttia potilaista (14 potilasta 20:stä) pystyi hallitsemaan pään liikkeitä, ja noin 65 prosenttia potilaista (12 potilasta 20:stä) pystyi istumaan ilman apua kaksi vuotta hoidon jälkeen. Tieteellisestä kirjallisuudesta saadut tiedot osoittivat, että potilaat, joilla oli vaikea AADC-puutos ja jotka eivät olleet saaneet mitään hoitoa, eivät pystyneet saavuttamaan näitä kehityksen vaiheita.

Mitä riskejä Upstazaan liittyy?

Upstazan yleisin haittavaikutus (jota saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) on dyskinesia (hallitsemattomat liikkeet).

Pakkausselosteessa on täydellinen luettelo kaikista Upstazan haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Upstaza on hyväksytty EU:ssa?

Kolme päätutkimusta osoittivat, että Upstaza parantaa tehokkaasti pään liikkeiden hallintaa ja istumiskykyä potilailla, joilla on AADC-puutos. Koska AADC-puutos on hyvin harvinainen sairaus, tutkimus oli pieni, mutta saatavilla olevat lyhyen aikavälin tiedot viittaavat siihen, että Upstaza voisi olla tehokas lasten kehityksen tärkeiden virstanpylväiden saavuttamisessa. Vaikka Upstazan turvallisuutta koskevia tietoja on vähän, tähän mennessä havaittujen haittavaikutusten katsotaan olevan hallittavissa. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Upstazan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa. Tämä koskee myös aikuisia, joilla on AADC-puutos. Virasto katsoi, että vakavalle sairaudelle ei ole olemassa riittävästi muita hoitovaihtoehtoja.

Upstaza on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä tarkoittaa sitä, että lääkevalmisteesta ei ole ollut mahdollista saada täydellistä tietoa, koska käyttöaihe on niin harvinainen. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Upstazasta odotetaan vielä saatavan?

Koska Upstazalle on annettu myyntilupa poikkeusolosuhteissa, Upstazaa markkinoiva yhtiö toimittaa lisätietoja meneillään olevista tutkimuksista ja tekee uuden tutkimuksen, jossa selvennetään Upstazan pitkäaikaista turvallisuutta ja tehoa.

Miten voidaan varmistaa Upstazan turvallinen ja tehokas käyttö?

Upstazaa markkinoivan yhtiön on varmistettava, että Upstazaa antavissa sairaaloissa on asianmukaiset tilat, asiantuntemus ja koulutus.

Yhtiön on toimitettava terveydenhuollon ammattilaisille ja potilaille perehdytysmateriaalia kirurgisesta toimenpiteestä ja mahdollisista haittavaikutuksista.

Yhtiön on myös toimitettava lisätietoja, jotka osoittavat, että Upstazaa valmistetaan johdonmukaisesti samojen laatustandardien mukaisesti.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Upstazan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Upstazan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Upstazasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Upstazasta

Lisää tietoa Upstazasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/upstaza.