



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Aldurazyme

laronidaza

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Aldurazyme. Objašnjava kako je Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) ocijenio lijek da bi donio svoje mišljenje u korist izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet te preporuke o uvjetima za primjenu lijeka Aldurazyme.

Što je Aldurazyme?

Aldurazyme je otopina za infuziju (drip) u venu koja sadrži djelatnu tvar laronidazu.

Za što se Aldurazyme koristi?

Aldurazyme se koristi u bolesnika s potvrđenom dijagnozom mukopolisaharidoze I (MPS I; deficijencija α -L-iduronidaze) za liječenje simptoma bolesti koji nisu neurološki (simptomi koji nisu povezani s mozgom ni živcima). MPS I je rijetka, nasljedna bolest u koje je razina aktivnosti enzima α -iduronidaze mnogo niža od normalne. To znači da se tvari koje se nazivaju glikozaminoglikani (GAG-i) ne razgrađuju, pa se nakupljaju u većini organa u tijelu i oštećuju ih. Simptomi bolesti MPS I koji nisu neurološki mogu biti povećana jetra, ukočeni zglobovi koji otežavaju kretanje, smanjen obujam pluća, bolest srca i bolest oka.

Ovaj se lijek izdaje samo na liječnički recept.

Kako se Aldurazyme koristi?

Liječenje lijekom Aldurazyme mora nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika oboljelih od MPS I ili drugih nasljednih metaboličkih bolesti. Aldurazyme se mora primijeniti u bolnici ili klinici gdje je dostupna oprema za reanimaciju, a bolesnici će možda trebati primiti određene lijekove prije infuzije radi sprječavanja alergijske reakcije. Aldurazyme se primjenjuje jednom tjedno kao infuzija u venu. Namijenjen je za dugoročnu primjenu.



Kako Aldurazyme djeluje?

Djelatna tvar u lijeku Aldurazyme, laronidaza, kopija je humanog enzima α -iduronidaze. Proizvodi se metodom poznatom kao „tehnologija rekombinantne DNK”: enzim tvore stanice u koje je unesen gen (DNK) koji im omogućuje proizvodnju laronidaze. Laronidaza se upotrebljava kao „enzimska nadomjesna terapija”, što znači da zamjenjuje enzim koji nedostaje u bolesnika s MPS I. Time se suzbijaju simptomi bolesti MPS I i poboljšava kvaliteta bolesnikova života.

Kako je Aldurazyme ispitivan?

Aldurazyme je uspoređen s placebom (prividnim liječenjem) u 45 bolesnika u dobi od šest godina i više s potvrđenom dijagnozom bolesti MPS I. Glavno je mjerilo učinkovitosti bilo forsirani vitalni kapacitet (engl. *Forced Vital Capacity*, FVC, mjerilo kvalitete funkcioniranja pluća) i udaljenost koju bolesnici mogu prehodati tijekom šest minuta. To je izmjereno prije i nakon 26 tjedana liječenja. Nakon toga, ispitivanje je nastavljeno tijekom razdoblja do četiri godine te su svi bolesnici liječeni lijekom Aldurazyme.

Aldurazyme je također ispitan u 20 djece mlađe od pet godina koja su Aldurazyme primala jednu godinu. Ispitivanjem se uglavnom istraživala sigurnost lijeka, ali je također mjerena njegova sposobnost smanjivanja razina GAG-a u urinu i veličine jetre.

Koje su koristi lijeka Aldurazyme utvrđene u ispitivanjima?

Ispitivanje je pokazalo da je Aldurazyme poboljšao FVC i sposobnost hodanja bolesnika nakon 26 tjedana. Taj je učinak održan tijekom razdoblja do četiri godine.

U djece mlađe od pet godina Aldurazyme je smanjio razine GAG-a u urinu za otprilike 60 %. Polovica liječene djece po završetku ispitivanja imala je jetru normalne veličine.

Koji su rizici povezani s lijekom Aldurazyme?

Većina nuspojava zapaženih pri primjeni lijeka Aldurazyme reakcije su prouzročene postupkom infuzije, a nesamim lijekom. Neke od njih su teške, ali se broj nuspojava smanjuje s vremenom. Najčešće nuspojave u bolesnika starijih od pet godina (zapažene u više od 1 na 10 bolesnika) su glavobolja, mučnina (osjećaj slabosti), abdominalna bol (trbobilja), osip, artropatija (oštećenje zglobova), artralgiya (bol u zglobovima), bol u leđima, bol u ekstremitetima (šakama i stopalima), crvenilo, pireksija (vrućica) i reakcije na mjestu infuzije. U bolesnika mlađih od pet godina najčešće nuspojave (zapažene u više od 1 na 10 bolesnika) su povišeni krvni tlak, smanjena saturacija kisika (mjerilo kvalitete funkcioniranja pluća), tahikardija (brz rad srca), pireksija i zimica. Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Aldurazyme potražite u uputi o lijeku.

Gotovo svi bolesnici koji primaju Aldurazyme razviju antitijela (proteine koji se proizvode kao reakcija na Aldurazyme). Nije potpuno poznat njihov učinak na sigurnost i učinkovitost lijeka.

Aldurazyme se ne smije koristiti u ljudi koji su izrazito alergični na laronidazu ili bilo koji drugi sastojak.

Zašto je Aldurazyme odobren?

CHMP je odlučio da Aldurazyme omogućuje učinkovito suzbijanje simptoma bolesti MPS I. Odbor je odlučio da koristi lijeka Aldurazyme nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka Aldurazyme u promet.

Aldurazyme je prvobitno odobren u „iznimnim okolnostima” zbog toga što su u trenutku izdavanja odobrenja bile dostupne samo ograničene informacije jer je bolest rijetka. Budući da je tvrtka dostavila dodatne zatražene informacije, „iznimne okolnosti” prestale su 16. prosinca 2015.

Ostale informacije o lijeku Aldurazyme

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje je za lijek Aldurazyme na snazi u Europskoj uniji od 10. lipnja 2003.

Cjeloviti EPAR za Aldurazyme nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Više informacija o terapiji lijekom Aldurazyme pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svojem liječniku ili ljekarniku.

Ovaj sažetak posljednji je put ažuriran u 11.2015.