



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR, sažetak za javnost

---

# Naglazyme

## galsulfaza

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) za lijek Naglazyme. 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 i svoje preporuke o uvjetima za primjenu lijeka Naglazyme.

### Što je Naglazyme?

Naglazyme je otopina za infuziju (ukapavanje u venu) koja sadrži djelatnu tvar galsulfazu (1 mg/ml).

### Za što se Naglazyme koristi?

Naglazyme se koristi za liječenje bolesnika s mukopolisaharidozom VI (MPS VI ili sindrom Maroteaux-Lamy). Bolest uzrokuje nedostatak enzima naziva N-acetilgalaktozamin 4-sulfataza koji je u organizmu potreban za razgradnju tvari naziva glikozaminoglikani. Kod manjka ovog enzima, glikozaminoglikani ne mogu se razgraditi te se nakupljaju u stanicama, što uzrokuje znakove bolesti, čiji su najuočljiviji simptomi nizak rast, velika glava i teškoće pri kretanju. Bolest se obično dijagnosticira u male djece u dobi između jedne i pet godina.

Budući da je broj bolesnika s mukopolisaharidozom VI nizak, ta se bolest smatra „rijetkom“ te je Naglazyme dobio status „lijeka za rijetku bolest“ 14. veljače 2001.

Lijek se izdaje samo na recept.

### Kako se Naglazyme primjenjuje?

Terapiju lijekom Naglazyme treba nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika s mukopolisaharidozom VI ili sličnim bolestima. Mora se davati na mjestu na kojem je dostupna oprema za oživljavanje u slučaju da je potrebna hitna medicinska intervencija.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



Naglazyme se daje kao četverosatna infuzija jednom tjedno. Preporučena je doza 1 mg po kilogramu tjelesne težine. Prije svake infuzije bolesnicima treba dati antihistaminik kako bi se smanjio rizik od alergijske reakcije. Bolesnicima se također može dati i lijek protiv vrućice.

## **Kako djeluje Naglazyme?**

Naglazyme se primjenjuje za enzimsku nadomjesnu terapiju. Enzimska nadomjesna terapija bolesnicima osigurava enzim koji im nedostaje. Djelatna tvar u lijeku Naglazyme, galsulfaza, kopija je humanog enzima N-acetilgalaktozamin 4-sulfataze. Naglazyme pomaže u razgradnji glikozaminoglikana i sprečava njihovo nakupljanje u stanicama. To može ublažiti simptome mukopolisaharidoze VI i povećati mobilnost bolesnika.

Galsulfaza se proizvodi metodom poznatom kao „tehnologija rekombinantne DNK“, odnosno stvara je stanica koja je primila gen (DNK), što joj omogućuje proizvodnju enzima.

## **Kako je Naglazyme ispitivan?**

Naglazyme je bio uspoređen s placebo (prividnim liječenjem) u jednom glavnom ispitivanju koje je uključivalo 39 bolesnika s mukopolisaharidozom VI u dobi od 5 do 29 godina. Glavno mjerilo učinkovitosti bila je udaljenost koju je bolesnik mogao prehodati nakon 24 tjedna liječenja.

## **Koje su koristi od lijeka Naglazyme utvrđene u ispitivanjima?**

Naglazyme je bio učinkovitiji od placeba. Nakon 24 tjedna, prosječna udaljenost koju su bolesnici prehodali tijekom 12 minuta povećala se za 109 metara u bolesnika koji su primili Naglazyme, u usporedbi s 18 metara u onih koji su primili placebo.

## **Koji su rizici povezani s lijekom Naglazyme?**

U ispitivanjima su najčešće nuspojave lijeka Naglazyme (zabilježene u više od 1 na 10 bolesnika) bile bol u ušima, dispneja (poteškoće s disanjem), bol u trbuhu i opća bol. Bolesnici također mogu imati reakcije na infuziju (kao što su vrućica, zimica, osip i koprivnjača). Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Naglazyme potražite u uputi o lijeku.

Lijek Naglazyme ne smije se primjenjivati u osoba koje mogu biti preosjetljive (alergične) na galsulfazu ili bilo koji drugi sastojak lijeka.

## **Zašto je lijek Naglazyme odobren?**

CHMP je odlučio da koristi od lijeka Naglazyme nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Odbor je naveo da, iako bolesnici mlađi od pet godina nisu bili uključeni u glavno ispitivanje lijeka Naglazyme, važno ih je liječiti ako imaju težak oblik mukopolisaharidoze VI.

Lijek Naglazyme odobren je u „iznimnim okolnostima“. To znači da, budući da je riječ o rijetkoj bolesti, nije moguće dobiti potpune informacije o lijeku Naglazyme. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove dostupne informacije te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

## **Koje se još informacije očekuju o lijeku Naglazyme?**

Tvrtka koja proizvodi lijek Naglazyme provodi ispitivanja u kojima se analizira dugoročna sigurnost i učinkovitost lijeka Naglazyme u trudnica i dojilja te u djece mlađe od pet godina da se utvrdi razvijaju

li protutijela (bjelančevine koje se u organizmu proizvode kao odgovor na Naglazyme, koje mogu djelovati na reakciju na lijek) te za utvrđivanje nuspojava lijeka. Tvrtka također provodi ispitivanja za utvrđivanje najbolje doze koja bi se bolesnicima dugoročno redovito davala.

## **Ostale informacije o lijeku Naglazyme**

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje lijeka Naglazyme u promet tvrtki BioMarin Europe Limited koje je na snazi u Europskoj uniji od 24. siječnja 2006. Odobrenje za stavljanje u promet nije vremenski ograničeno.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti o lijeku Naglazyme nalazi se na internetskim stranicama Agencije [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Cjeloviti EPAR za lijek Naglazyme 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 Naglazyme pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak je posljednji put ažuriran u 12. 2010.