



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/645170/2022
EMA/H/C/005352

Upstaza (eladokagen eksuparvovek)

Pregled informacija o lijeku Upstaza i zašto je odobren u EU-u

Što je Upstaza i za što se koristi?

Upstaza je lijek za gensku terapiju koji se primjenjuje u odraslih osoba i djece u dobi od 18 mjeseci i starije s teškim nedostatkom dekarboksilaze aromatskih L-aminokiselina (AADC) s genetički potvrđenom dijagnozom.

Nedostatak AADC-a nasljedna je bolest koja zahvaća živčani sustav i uzrokuje simptome kao što su zastoje u razvoju, slab tonus mišića i nemogućnost kontrole pokreta udova.

Nedostatak AADC-a rijetka je bolest, a lijek Upstaza dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 18. studenoga 2016. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161786.

Upstaza je vrsta lijeka za naprednu terapiju koji se naziva „lijek za gensku terapiju”. Riječ je o vrsti lijeka koja djeluje unosom gena u tijelo.

Upstaza sadrži eladokagen eksuparvovek, funkcionalnu verziju gena AADC unutar modificiranog virusa (adenopovezanog virusnog vektora). Nije zabilježeno da virus koji se upotrebljava u ovom lijeku uzrokuje bolest u ljudi.

Kako se Upstaza primjenjuje?

Lijek Upstaza izdaje se samo na recept i mora ga davati liječnik s iskustvom u operacijama mozga u operacijskoj sali pod anestezijom. Daje se infuzijom u mozak. Nakon infuzije bolesnik ide na snimanje mozga. Liječnik će pratiti oporavak i provjeravati eventualne nuspojave nakon kirurškog zahvata i liječenja.

Za više informacija o primjeni lijeka Upstaza pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Upstaza?

Nedostatak AADC-a uzrokovan je mutacijama gena koji proizvodi enzim AADC. Taj je enzim potreban za proizvodnju dopamina, neurotransmitera koji je važan za kontrolu pokreta. Bolesnici s nedostatkom AADC-a nemaju funkcionalnu verziju enzima, što dovodi do vrlo male proizvodnje dopamina u mozgu ili se on uopće ne proizvodi. Lijek se sastoji od virusa koji sadrži funkcionalnu verziju gena AADC. Kada

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



bolesnik primi lijek, očekuje se da će virus prenositi gen AADC u živčane stanice, što će im omogućiti da proizvedu enzim koji nedostaje. Očekuje se da će stanice tada moći proizvesti dopamin koji im je potreban za pravilan rad, čime će se ublažiti simptomi bolesti.

Koje su koristi od lijeka Upstaza utvrđene u ispitivanjima?

Koristi od lijeka Upstaza utvrđene su u trima glavnim ispitivanjima koja su obuhvatila 28 djece u dobi od 1,5 do 8,5 godina s teškim nedostatkom AADC-a potvrđenim genetskim testom. Glavne mjere djelotvornosti bile su kontrola glave i sposobnost sjedenja bez pomoći. Ispitivanja su pokazala da je oko 70 % (14 od 20) bolesnika moglo kontrolirati kretanje glave, a oko 65 % (12 od 20) bolesnika moglo je sjediti bez pomoći dvije godine nakon liječenja. Podatci iz znanstvene literature pokazali su da bolesnici s teškim nedostatkom AADC-a koji nisu primali nikakvu terapiju nisu mogli postići te razvojne prekretnice.

Koji su rizici povezani s lijekom Upstaza?

Najčešća nuspojava lijeka Upstaza (koja se može javiti u više od 1 na 10 osoba) jest diskinezija (nekontrolirani pokreti).

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Upstaza potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Upstaza odobren u EU-u?

Tri glavna ispitivanja pokazala su da je lijek Upstaza učinkovit u poboljšanju sposobnosti kontrole kretanja glave i sjedenja u bolesnika s nedostatkom AADC-a. Budući da je nedostatak AADC-a vrlo rijetka bolest, ispitivanje je bilo malo, ali dostupni kratkoročni podatci upućivali su na to da bi lijek Upstaza mogao biti učinkovit u postizanju važnih razvojnih prekretnica u djece. Iako su podatci o sigurnosti primjene lijeka Upstaza ograničeni, smatra se da se nuspojave koje su dosad opažene mogu kontrolirati. Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Upstaza nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u, među ostalim i u odraslih osoba s nedostatkom AADC-a, s obzirom na ozbiljnost bolesti i nedostatak postojećih terapija.

Lijek Upstaza odobren je u „iznimnim okolnostima“. To znači da, budući da se bolest rijetko pojavljuje, nije bilo moguće dobiti potpune informacije o lijeku. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove informacije koje postanu dostupne te se ovaj pregled informacija po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Upstaza?

Budući da je Upstaza odobren u iznimnim okolnostima, tvrtka koja stavlja lijek Upstaza u promet dostavit će dodatne podatke iz ispitivanja koja su u tijeku i provesti novo ispitivanje kako bi se dodatno opisala dugoročna sigurnost i učinkovitost lijeka Upstaza.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Upstaza?

Tvrtka koja stavlja lijek Upstaza u promet mora osigurati da bolnice u kojima se lijek Upstaza primjenjuje imaju odgovarajuće stručno znanje, prostorije i obuku.

Tvrtka mora zdravstvenim radnicima i bolesnicima osigurati materijale za obuku o kirurškom zahvatu i mogućim nuspojavama.

Tvrtka također mora dostaviti dodatne podatke kako bi dodatno dokazala da se Upstaza dosljedno proizvodi u skladu s istim standardima kvalitete.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Upstaza također se nalaze u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Upstaza kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave lijeka Upstaza pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Upstaza

Više informacija o lijeku Upstaza dostupno je na službenim stranicama Agencije:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/upstaza.