



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Naglazyme

galszulfáz

Ez a dokumentum a Naglazyme-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Naglazyme alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Naglazyme?

A Naglazyme oldatos infúzió, amelynek hatóanyaga a galszulfáz (1 mg/ml).

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Naglazyme?

A Naglazyme-ot a VI. típusú mukopoliszacharidózisban (MPS VI vagy Maroteaux-Lamy szindróma) szenvedő betegek kezelésére alkalmazzák. Ezt a betegséget az N-acetilgalaktozamin 4-szulfatáz enzim hiánya okozza, amely a testben lévő, glikozaminoglikánoknak (GAG) nevezett anyagok lebontásához szükséges. Az enzim hiányában a szervezet nem képes lebontani a glikozaminoglikánokat és így azok felhalmozódnak a sejtekben. Ez váltja ki a betegség jeleit, amelyek közül a legszembeötlőbb az alacsony testmagasság, a nagy fej és a mozgási nehézségek. A betegséget általában egy-öt éves korban diagnosztizálják.

Mivel az MPS VI-ban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség ritkának minősül, ezért a Naglazyme 2001. február 14-én megkapta a „ritka betegség gyógyszere” minősítést.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Naglazyme-ot?

A Naglazyme-kezelést az MPS VI vagy hasonló betegségek kezelésében jártas orvos felügyelete mellett kell végezni. A gyógyszert olyan helyen kell alkalmazni, ahol rendelkezésre állnak újraélesztési eszközök orvosi elsősegélynyújtás esetére.



A Naglazyme-ot hetente egyszer, négyórás infúzióban adják be. Az ajánlott dózis 1 mg/tt kg. A betegeknek minden infúzió beadása előtt antihisztamint kell adni az allergiás reakció kockázatának csökkentése érdekében. A láz megelőzésére pedig lázcsillapítót kaphatnak.

Hogyan fejti ki hatását a Naglazyme?

A Naglazyme-kezelés egy enzimpótló terápia. Az enzimpótló terápia a hiányzó enzimet biztosítja a beteg számára. A Naglazyme hatóanyaga, a galszulfáz, az N-acetilgalaktozamin 4-szulfatáz humán enzim másolata. A Naglazyme elősegíti a GAG szénhidrátok lebontását és megakadályozza felhalmozódásukat a sejtekben. Ez segíti az MPS VI betegség tüneteinek javulását, beleértve a helyváltoztatási nehézségeket is.

A galszulfázt egy „rekombináns DNS technológia” néven ismert eljárással állítják elő: egy sejt állítja elő, amelyet egy olyan génnel (DNS) látták el, amely révén képes az enzim előállítására.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Naglazyme-ot?

A Naglazyme-ot egy fő vizsgálat során placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze, amelybe 39, 5-29 év közötti, MPS VI-ban szenvedő beteget vontak be. A hatásosság fő mértéke a 24 hetes kezelést követően a betegek által gyalog megtett távolság volt.

Milyen előnyei voltak a Naglazyme alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Naglazyme hatásosabbnak bizonyult a placebónál. 24 hét után a betegek által 12 perc alatt gyalog megtett távolság a Naglazyme-mal kezelt betegeknél 109 méterrel, a placebóval kezelt betegeknél pedig 18 méterrel nőtt.

Milyen kockázatokkal jár a Naglazyme alkalmazása?

A Naglazyme leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkeznek): fülfájás, nehézlégzés, hasi fájdalom és általános fájdalom. A betegeknél jelentkezhetnek az infúzió által kiváltott reakciók is (mint például láz, hidegrázás, kiütés és csalánkiütés). A Naglazyme alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolását lásd a betegtájékoztatóban!

A Naglazyme nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiások) lehetnek a galszulfázzal vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben.

Miért engedélyezték a Naglazyme forgalomba hozatalát?

A CHMP megállapította, hogy a Naglazyme alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

A bizottság megjegyezte, annak ellenére, hogy a Naglazyme fő vizsgálatába nem vontak be öt éves kor alatti betegeket, fontos, hogy ezek a betegek megfelelő kezelésben részesüljenek, ha az MPS VI súlyos formájában szenvednek.

A Naglazyme forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy mivel a betegség ritka, nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Naglazyme-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

Milyen információk várhatók még a Naglazyme-mal kapcsolatban?

A Naglazyme gyártója további vizsgálatokat folytat a gyógyszer hosszú távú biztonságosságára és hatásosságára vonatkozóan terhes és szoptató nők, valamint 5 éves kor alatti gyermekek körében annak ellenőrzésére, hogy termelődnek-e náluk antitestek (fehérjék, amelyek termelődését a szervezetben a Naglazyme váltja ki, és amelyek befolyásolhatják a kezelésre adott válaszreakciót), illetve a gyógyszer mellékhatásainak vizsgálatára. Ezen kívül a vállalat a rendszeres hosszú távú kezelés során alkalmazandó optimális dózis meghatározására is végez vizsgálatokat.

A Naglazyme-mal kapcsolatos egyéb információk:

2006. január 24-én az Európai Bizottság a BioMarin Europe Limited részére a Naglazyme-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt. A forgalomba hozatali engedély korlátlan ideig érvényes.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Naglazyme-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

A Naglazyme-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Amennyiben a Naglazyme-mal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 12-2010.