

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

Riassunto destinato al pubblico

Aldurazyme

laronidasi

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Aldurazyme. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Aldurazyme.

Che cos'è Aldurazyme?

Aldurazyme è una soluzione per infusione (flebo) in vena che contiene il principio attivo laronidasi.

Per che cosa si usa Aldurazyme?

Aldurazyme è usato in pazienti con diagnosi confermata di mucopolisaccaridosi di tipo I (MPS-I, ossia carenza di α -L-iduronidasi) per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche della malattia (sintomi non connessi con il cervello o i nervi). La MPS I è una malattia ereditaria rara, in cui il livello di attività enzimatica di α -L-iduronidasi è molto inferiore al normale. Di conseguenza, non si ha la degradazione di certe sostanze denominate glicosaminoglicani (GAG), che vanno ad accumularsi nella maggiore parte degli organi del corpo danneggiandoli. Le manifestazioni non neurologiche della MPS I possono essere ingrossamento del fegato, rigidità delle articolazioni con conseguente difficoltà di movimento, riduzione del volume polmonare, malattie del cuore e degli occhi.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa Aldurazyme?

La terapia con Aldurazyme deve avvenire sotto il controllo di un medico esperto nella gestione di pazienti con MPS I o altre malattie metaboliche ereditarie. Aldurazyme deve essere somministrato in ospedali o cliniche in cui siano disponibili attrezzature per la rianimazione ed è possibile che prima dell'infusione debbano essere somministrati altri farmaci per prevenire reazioni allergiche. Aldurazyme

viene somministrato una volta alla settimana come infusione endovenosa. È un medicinale per terapie a lungo termine.

Come agisce Aldurazyme?

Il principio attivo di Aldurazyme, laronidasi, è una copia dell'enzima umano α -L-iduronidasi. È prodotto con un metodo noto come "tecnologia del DNA ricombinante", ossia coltivando cellule in cui è stato immesso un gene (DNA) che consente loro di produrre l'enzima. Questo è usato come "terapia enzimatica sostitutiva", ossia sostituisce l'enzima mancante nei pazienti affetti da MPS I. I sintomi dell'MPS I sono così controllati, con il conseguente miglioramento della qualità di vita dei pazienti.

Quali studi sono stati effettuati su Aldurazyme?

Aldurazyme è stato confrontato con un placebo (trattamento fittizio) in 45 pazienti dai sei anni in su con una diagnosi confermata di MPS I. La principale misura dell'efficacia è stata la capacità vitale forzata (CVF, una misura dell'efficacia polmonare) e la distanza che i pazienti possono percorrere camminando per sei minuti. Tali valori sono stati misurati prima e dopo 26 settimane di terapia. Dopo di ciò lo studio è proseguito per un periodo massimo di quattro anni e tutti i pazienti sono stati trattati con Aldurazyme.

Aldurazyme è stato anche studiato in 20 bambini di età inferiore a cinque anni, cui è stato somministrato per un anno. Lo studio verteva essenzialmente sulla sicurezza del medicinale, ma ha anche provveduto a misurare la sua capacità di ridurre i livelli di GAG nell'urina e la dimensione del fegato.

Quali benefici ha mostrato Aldurazyme nel corso degli studi?

Lo studio ha mostrato che Aldurazyme ha migliorato sia la capacità vitale forzata sia la capacità di camminare dei pazienti dopo 26 settimane e che l'effetto si è mantenuto per un periodo fino a quattro anni.

Nei bambini di età inferiore a cinque anni, Aldurazyme ha ridotto i livelli di GAG nelle urine di circa il 60 %; la metà dei bambini trattati presentava un fegato di dimensioni normali alla fine dello studio.

Qual è il rischio associato ad Aldurazyme?

Gli effetti indesiderati osservati con Aldurazyme sono per la maggior parte reazioni causate dalla pratica dell'infusione piuttosto che dal medicinale stesso. Alcuni di essi sono gravi, ma il numero di effetti indesiderati tende a diminuire col tempo. Gli effetti indesiderati più comuni nei pazienti di più di cinque anni di età (osservati in più di 1 paziente su 10) sono mal di testa, nausea, dolori addominali (mal di stomaco), eruzione cutanea, artropatia (degenerazione delle articolazioni), artralgia (dolore alle articolazioni), mal di schiena, dolore alle estremità (mani e piedi), vampate, piressia (febbre) e reazioni al sito dell'infusione. Nei pazienti di età inferiore ai cinque anni, gli effetti indesiderati più comuni (osservati in più di 1 paziente su 10) sono aumento della pressione sanguigna, diminuzione della saturazione di ossigeno (una misura dell'efficacia della funzione polmonare), tachicardia (aumento della frequenza cardiaca), piressia e brividi. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Aldurazyme, vedere il foglio illustrativo.

Quasi tutti i pazienti che assumono Aldurazyme sviluppano anticorpi (proteine prodotte in risposta al medicinale). Non è tuttavia ancora del tutto noto l'effetto che questi anticorpi possono avere sulla sicurezza e l'efficacia del medicinale.

Aldurazyme non deve essere somministrato a soggetti gravemente allergici a laronidasi o a uno qualsiasi degli altri ingredienti.

Perché è stato approvato Aldurazyme?

Avendo concluso che Aldurazyme permette di controllare efficacemente i sintomi di MPS I, il CHMP ha deciso che i benefici del medicinale sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Aldurazyme.

Inizialmente, Aldurazyme è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché, data la rarità della malattia, al momento dell'approvazione erano disponibili informazioni limitate. Dal momento che la ditta ha fornito le informazioni aggiuntive richieste, la condizione riferita alle "circostanze eccezionali" è venuta meno il 16 dicembre 2015.

Altre informazioni su Aldurazyme

Il 10 giugno 2003 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Aldurazyme, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Aldurazyme, consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Aldurazyme, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 11-2015.