



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sintesi destinata al pubblico

---

# Naglazyme

galsulfase

Questo documento è la sintesi di una relazione di valutazione pubblica europea (EPAR) per Naglazyme. L'EPAR 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 alla concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Naglazyme.

## Che cos'è Naglazyme?

Naglazyme è una soluzione per infusione (flebo in vena) contenente il principio attivo galsulfase (1 mg/ml).

## Per che cosa si usa Naglazyme?

Naglazyme è utilizzato nel trattamento dei pazienti con mucopolisaccaridosi VI (MPS VI o sindrome di Maroteaux-Lamy). Questa malattia è causata dalla mancanza di un enzima chiamato N-acetilgalattosamina 4-solfatasi necessario per decomporre sostanze nel corpo chiamate glicosaminoglicani (GAG). Se l'enzima non è presente, i GAG non possono essere decomposti e si accumulano nelle cellule. Emergono quindi i segni della malattia, i più evidenti tra i quali sono bassa statura, crescita abnorme della testa e difficoltà di deambulazione. La malattia viene solitamente diagnosticata nei bambini di età compresa tra 1 e 5 anni.

Poiché il numero di pazienti affetti da MPS VI è basso, la malattia è considerata "rara" e Naglazyme è stato designato "medicinale orfano" (ossia medicinale usato nelle malattie rare) il 14 febbraio 2001.

**Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.**



## **Come si usa Naglazyme?**

Il trattamento con Naglazyme dovrebbe essere effettuato sotto la supervisione di personale medico esperto nella cura di pazienti affetti da MPS VI o malattie analoghe. Andrebbe somministrato in strutture dove è disponibile attrezzatura per la rianimazione, in caso si verifichi un'emergenza.

Naglazyme viene somministrato per infusione per 4 ore una volta alla settimana. La dose raccomandata è di 1 mg per kg di peso corporeo.. Prima di ogni infusione, i pazienti dovrebbero assumere un antistaminico per ridurre il rischio di reazioni allergiche. Ai pazienti può anche essere somministrato un farmaco per prevenire l'insorgere di febbre.

## **Come agisce Naglazyme?**

Naglazyme è una terapia enzimatica sostitutiva. Tale tipo di terapia fornisce ai pazienti l'enzima di cui sono deficitari. Il principio attivo di Naglazyme, galsulfase, è una copia dell'enzima umano N-acetilgalattosamina 4-solfatasi. Naglazyme aiuta a decomporre i GAG e a impedirne l'accumulo nelle cellule. In tal modo si possono alleviare i sintomi della MPS VI, compresa la capacità di deambulazione dei pazienti.

Galsulfase viene ottenuto con un metodo noto come "tecnologia del DNA ricombinante": viene cioè ottenuta da una cellula in cui è stato immesso un gene (DNA) che la rende in grado di produrlo.

## **Quali studi sono stati effettuati su Naglazyme?**

Naglazyme è stato messo a confronto con un placebo (trattamento fittizio) in uno studio principale su 39 pazienti affetti da MPS VI di età compresa tra 5 e 29 anni. I criteri principali di efficacia era la distanza che i pazienti erano in grado di percorrere dopo 24 settimane di trattamento.

## **Quali benefici ha mostrato Naglazyme nel corso degli studi?**

Naglazyme si è dimostrato più efficace del placebo. Dopo 24 settimane, la distanza media percorsa in 12 minuti è aumentata di 109 metri nei pazienti curati con Naglazyme e di 18 metri in quelli che ricevevano un placebo.

## **Qual è il rischio associato a Naglazyme?**

Negli studi, gli effetti indesiderati più comuni con Naglazyme (riscontrati in più di un paziente su 10) erano dolori alle orecchie, dispnea (difficoltà respiratorie), dolori addominali e dolori diffusi. I pazienti possono solo avere reazioni all'infusioni (quali febbre, brividi, eruzioni e orticarie). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Naglazyme, si rimanda al foglio illustrativo.

Naglazyme non deve essere somministrato a persone ipersensibili (allergiche) al galsulfase o a una qualsiasi delle altre sostanze.

## **Perché è stato approvato Naglazyme?**

Il CHMP ha deciso che i benefici di Naglazyme sono superiori ai rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Il Comitato ha precisato l'importanza di trattare anche i pazienti al di sotto dei 5 anni di età affetti da forme gravi di MPS VI, sebbene non fossero inclusi nello studio principale condotto su Naglazyme.

Naglazyme è stato autorizzato in "circostanze eccezionali". Ciò significa che, essendo la malattia rara, non è stato possibile ottenere informazioni complete su Naglazyme. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni eventualmente disponibili e, se necessario, la presente sintesi verrà aggiornata.

## **Quali informazioni sono ancora attese per Naglazyme?**

L'azienda produttrice di Naglazyme sta effettuando studi relativi alla sicurezza a lungo termine e all'efficacia di Naglazyme su donne incinte e che allattano, oltre che su bambini al di sotto dei 5 anni di età, per verificare lo sviluppo di anticorpi (proteine prodotte nel corpo in reazione a Naglazyme che potrebbero avere un impatto sulla risposta al trattamento) e gli effetti indesiderati provocati dal farmaco. L'azienda sta anche conducendo studi per ottimizzare il dosaggio da somministrare a pazienti per trattamenti a lungo termine.

## **Altre informazioni su Naglazyme**

Il 24 gennaio 2006 la Commissione europea ha rilasciato alla BioMarin Europe Limited un'autorizzazione all'immissione in commercio per **Naglazyme**, valida in tutta l'Unione europea. Tale autorizzazione ha validità illimitata.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani per Naglazyme è disponibile sul sito web dell'Agenzia all'indirizzo: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

La versione completa dell'EPAR di Naglazyme può essere consultata sul sito web dell'Agenzia selezionando [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Naglazyme, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il proprio medico o farmacista.

Ultimo aggiornamento di questa sintesi: 12/2010.