



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/109796/2014
EMA/H/C/002779

Riassunto destinato al pubblico

Vimizim

elosulfase alfa

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Vimizim. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Vimizim.

Per informazioni pratiche sull'uso di Vimizim i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Vimizim?

Vimizim è un medicinale che contiene il principio attivo elosulfase alfa. È indicato per il trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo IVA (MPS IVA, nota anche come sindrome di Morquio A). Questa malattia è causata dalla carenza di un enzima denominato N-acetilgalattosamina-6-solfatasi, che è necessario per la degradazione di sostanze presenti nell'organismo denominate glicosaminoglicani (GAG). Se l'enzima non è presente, o se è presente in quantità minime, i GAG non possono essere degradati e si accumulano nelle ossa e negli organi. Tale accumulo provoca i segni della malattia, i più evidenti dei quali sono ossa corte, difficoltà di movimento e respirazione, opacizzazione degli occhi e perdita dell'udito.

Poiché il numero di pazienti affetti da MPS IVA è basso, la malattia è considerata "rara" e Vimizim è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 24 luglio 2009.

Come si usa Vimizim?

Il trattamento con Vimizim deve avere luogo sotto la guida di un medico esperto nella gestione della MPS IVA o di altre malattie analoghe. Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e deve essere somministrato da un operatore sanitario adeguatamente formato.

Vimizim è disponibile come concentrato da cui si ottiene una soluzione per infusione (iniezione goccia a goccia) in vena. La dose raccomandata è di 2 mg/kg di peso corporeo somministrati una volta alla settimana. L'infusione deve essere effettuata nell'arco di 4 ore. Prima dell'infusione, al paziente deve

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu Website www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



essere somministrato un medicinale per la prevenzione di una reazione allergica a Vimizim. Ai pazienti può anche essere somministrato un medicinale per controllare la febbre.

Come agisce Vimizim?

Vimizim è una terapia enzimatica sostitutiva. La terapia enzimatica sostitutiva fornisce ai pazienti l'enzima di cui sono privi. Il principio attivo di Vimizim, elosulfase alfa, è una copia dell'enzima naturale N-acetilgalattosamina-6-solfatasi. L'enzima sostitutivo aiuta a degradare i GAG e ne impedisce l'accumulo nelle cellule, alleviando in tal modo i sintomi della MPS IVA.

Elosulfase alfa è prodotto con un metodo noto come "tecnologia del DNA ricombinante": viene cioè ottenuto da cellule in cui è stato immesso un gene (DNA) che le rende in grado di produrre l'enzima.

Quali benefici di Vimizim sono stati evidenziati negli studi?

Vimizim è stato esaminato nell'ambito di uno studio principale su 176 pazienti affetti da MPS IVA, in cui è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio). La principale misura dell'efficacia era la differenza nella distanza che i pazienti riuscivano a percorrere a piedi in sei minuti dopo 6 mesi di trattamento.

Prima della terapia i pazienti riuscivano a percorrere in media poco più di 200 metri in sei minuti. Dopo 6 mesi i pazienti trattati con la dose raccomandata di Vimizim sono riusciti a percorrere, in sei minuti, una media di 37 metri in più rispetto a un incremento di 14 metri osservato nei pazienti trattati con placebo. Dai risultati degli studi è inoltre emerso che il medicinale potrebbe migliorare l'efficacia respiratoria dei pazienti o la loro capacità di salire le scale e favorire la crescita nei bambini.

Quali sono i rischi associati a Vimizim?

Gli effetti indesiderati più comuni di Vimizim (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono reazioni correlate all'infusione tra cui mal di testa, nausea, vomito, febbre, brividi e dolore addominale (mal di stomaco). Tali reazioni sono generalmente lievi o moderate e più frequenti durante le prime 12 settimane di trattamento. Tra le reazioni all'infusione gravi ma non comuni si annovera anafilassi (grave reazione allergica). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Vimizim, vedere il foglio illustrativo.

Vimizim non deve essere usato in soggetti che hanno manifestato reazioni allergiche potenzialmente fatali a elosulfase alfa o a uno qualsiasi degli altri ingredienti.

Perché Vimizim è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Vimizim sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE. Il CHMP ha concluso che, dopo 6 mesi di trattamento, Vimizim ha mostrato di essere efficace nel migliorare la distanza che i pazienti riuscivano a percorrere in sei minuti, oltre ad arrecare altri effetti benefici, compreso un miglioramento della capacità di svolgere attività quotidiane. Il comitato ha inoltre tenuto conto del fatto che il profilo di sicurezza di Vimizim appare gestibile e che gli effetti indesiderati gravi sono poco frequenti. Tuttavia, devono essere raccolti ulteriori dati sulla sicurezza nel lungo termine.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Vimizim?

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che Vimizim sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio

illustrativo di Vimizim sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Inoltre, la ditta che produce Vimizim deve garantire che a tutti gli operatori sanitari che potrebbero prescrivere o utilizzare il medicinale sia fornito del materiale informativo sulle modalità d'uso del medicinale e sul rischio di gravi reazioni allergiche. La ditta istituirà altresì un registro per valutare i benefici e i rischi di Vimizim nel lungo termine.

Ulteriori informazioni sono disponibili nel [riassunto del piano di gestione dei rischi](#).

Altre informazioni su Vimizim

Il 28 aprile 2014 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Vimizim, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR e del riassunto del piano di gestione dei rischi di Vimizim 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 Vimizim, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Vimizim è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 04-2014