



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447415/2016
EMEA/H/C/001249

Riassunto destinato al pubblico

Vpriv

velaglucerasi alfa

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Vpriv. 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 Vpriv.

Che cos'è Vpriv?

Vpriv è un medicinale che contiene il principio attivo velaglucerasi alfa. È disponibile come polvere da ricostituire in una soluzione per infusione (flebo) in vena.

Per che cosa si usa Vpriv?

Vpriv è usato per il trattamento a lungo termine di pazienti affetti da malattia di Gaucher. La malattia di Gaucher è una rara patologia ereditaria, caratterizzata dalla carenza di un enzima denominato glucocerebrosidasi, che normalmente decompone un grasso chiamato glucocerebroside. Senza tale enzima si crea un accumulo di glucocerebroside nell'organismo, generalmente nel fegato, nella milza e nelle ossa, che determina i sintomi della malattia: anemia (bassa conta dei globuli rossi), stanchezza, facilità di formazione di contusioni e tendenza al sanguinamento, aumento del volume di milza e fegato, dolore osseo e fratture.

Vpriv viene usato in pazienti affetti da malattia di Gaucher di tipo 1, il tipo che solitamente colpisce fegato, milza e ossa.

Poiché il numero di pazienti affetti dalla malattia di Gaucher è basso, questa è considerata "rara" e Vpriv è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 9 giugno 2010.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.



Come si usa Vpriv?

Il trattamento con Vpriv deve essere monitorato da un medico esperto nella gestione di pazienti con malattia di Gaucher.

La dose raccomandata di Vpriv è di 60 unità/kg di peso corporeo e deve essere somministrata a settimane alterne con un'infusione di un'ora. La dose può essere adeguata in funzione dei sintomi di ciascun paziente e della risposta al trattamento. Le prime tre infusioni vengono somministrate in ambito ospedaliero, ma le infusioni successive possono essere somministrate a domicilio se i pazienti tollerano bene il medicinale. Le infusioni a domicilio devono essere effettuate sotto la supervisione di un professionista sanitario con formazione in trattamenti di emergenza.

Come agisce Vpriv?

La malattia di Gaucher si manifesta a causa della carenza di un enzima chiamato glucocerebrosidasi. Velaglucerasi alfa sostituisce l'enzima mancante nella malattia di Gaucher, consentendo la decomposizione del glucocerebroside e arrestando il suo accumulo nell'organismo.

Quali studi sono stati effettuati su Vpriv?

In uno studio principale su 35 pazienti (compresi 9 bambini) affetti da malattia di Gaucher di tipo 1, Vpriv è stato confrontato con l'imiglucerasi (un altro medicinale per la malattia di Gaucher). La principale misura dell'efficacia era il miglioramento dell'anemia, uno dei sintomi della malattia, dopo 41 settimane. Lo studio ha anche esaminato il controllo di altri segni della malattia, quali l'aumento del numero di piastrine nel sangue e la riduzione delle dimensioni del fegato e della milza.

Quali benefici ha mostrato Vpriv nel corso degli studi?

Vpriv si è rivelato efficace quanto l'imiglucerasi nella riduzione dell'anemia. Vpriv ha aumentato la quantità di emoglobina (la proteina contenuta nei globuli rossi del sangue che convoglia l'ossigeno) in media di 1,6 grammi per decilitro (da 11,4 g/dl), mentre l'imiglucerasi ha accresciuto la quantità di emoglobina in media di 1,5 g/dl (da 10,6 g/dl). Lo studio ha anche dimostrato che Vpriv è efficace quanto l'imiglucerasi nel controllo di altri segni della malattia di Gaucher.

Qual è il rischio associato a Vpriv?

Gli effetti indesiderati più comuni di Vpriv (osservati in più di 1 paziente su 10) sono reazioni da infusione, che comprendono cefalea, capogiro, ipotensione (pressione del sangue bassa), ipertensione (pressione del sangue elevata), nausea, astenia (debolezza) o affaticamento (stanchezza), e piressia (febbre) o temperatura corporea aumentata. Gli effetti indesiderati più gravi sono le reazioni di ipersensibilità (allergia).

Vpriv non deve essere somministrato a soggetti che soffrono di reazioni allergiche gravi a velaglucerasi alfa o a uno qualsiasi degli altri ingredienti.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Vpriv e delle relative limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché è stato approvato Vpriv?

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

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

La ditta che commercializza Vpriv fornirà materiale informativo a tutti i medici e pazienti che dovrebbero utilizzare Vpriv, indicando loro in che modo gestire il rischio di reazioni da infusione quando il medicinale viene somministrato a domicilio.

Nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo sono state inserite anche raccomandazioni e precauzioni per l'uso sicuro ed efficace di Vpriv da parte di operatori sanitari e pazienti.

Altre informazioni su Vpriv

Il 26 agosto 2010 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Vpriv, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Vpriv, consultare il sito web dell'Agenzia: [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://EMA_website/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Vpriv, 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 Vpriv è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://EMA_website/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 06-2016.