

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

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Aldurazyme

laronidazė

Šis dokumentas yra Aldurazyme Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertinęs vaistą priėmė nuomonę, kuria rekomenduoja suteikti Aldurazyme rinkodaros leidimą ir pateikia jo vartojimo rekomendacijas.

Kas yra Aldurazyme?

Aldurazyme yra infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos laronidazės.

Kam vartojamas Aldurazyme?

Aldurazyme skiriamas pacientams, kuriems diagnozuota I tipo mukopolisacharidozė (MPS I; α -L-iduronidazės trūkumas), ne neurologiniams (nesusijusiems su smegenimis ar nervais) ligos simptomams gydyti. MPS I yra reta paveldima liga, kuria sergant α -L-iduronidazės fermento veikla yra daug silpnesnė už įprastą. Tai reiškia, kad tam tikros medžiagos (glikozaminoglikanai) yra neskaidomos, kaupiasi daugelyje organų ir jiems kenkia. Ne neurologiniai MPS I simptomai gali būti padidėjusios kepenys, sustingę judėjimą apsunkinantys sąnariai, mažesnis plaučių tūris, širdies ir akių ligos.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

Kaip vartoti Aldurazyme?

Gydymą vaistu Aldurazyme turi prižiūrėti gydytojas, turintis MPS I ar kitomis paveldimomis medžiagų apykaitos ligomis sergančių pacientų gydymo patirties. Vaistu Aldurazyme gydoma ligoninėje arba klinikoje, turinčioje gaivinimo įrangą. Prieš atliekant infuziją pacientui gali tekti skirti kitų vaistų nuo alerginių reakcijų. Aldurazyme infuzinis tirpalas pacientui į veną lašinamas kartą per savaitę. Šis vaistas skirtas ilgalaikiam vartojimui.

Kaip veikia Aldurazyme?

Veiklioji Aldurazyme medžiaga laronidazė yra žmogaus fermento α -L-iduronidazės kopija. Ji gaminama taikant vadinamąjį rekombinacinės DNR technologijos metodą – fermentą gamina ląstelės, į kurias implantuojamas genas (DNR), leidžiantis joms gaminti laronidazę. Laronidazė vartojama kaip pakaitinės fermentų terapijos preparatas, t. y. ji pakeičia MPS I sergančių pacientų organizme trūkstantį fermentą. Paciento organizmui gavus trūkstamo fermento MPS I, simptomai kontroliuojami ir taip pagerinama jo gyvenimo kokybė.

Kaip buvo tiriamas Aldurazyme?

Aldurazyme buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos) jį skiriant 45 vyresniems nei šešerių metų pacientams, kuriems nustatyta MPS I. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo forsuota gyvybinė plaučių talpa (plaučių funkcijos rodiklis) ir atstumas, kurį pacientai galėjo nueiti per šešias minutes. Tai buvo tiriama prieš gydymą ir 26 savaites po jo. Vėliau tyrimas buvo tęsiamas dar ketverius metus visus pacientus gydant Aldurazyme.

Aldurazyme taip pat tirtas su 20 jaunesnių nei penkerių metų vaikų, kurie šiuo vaistu buvo gydomi vienus metus. Šiame tyrime buvo tiriamas vaisto vartojimo saugumas, taip pat buvo vertinama, kaip jis padeda sumažinti glikozaminoglikanų koncentraciją šlapime arba kaip nuo jo priklauso kepenų dydis.

Kokia Aldurazyme nauda nustatyta tyrimuose?

Tyrimas parodė, kad per 26 savaites vaistas Aldurazyme padidina forsuotą gyvybinę plaučių talpą ir sustiprina paciento pajėgumą eiti. Toks poveikis išsilaiko iki ketverių metų.

Jaunesniems nei 5 metų vaikams glikozaminoglikanų koncentraciją šlapime vaistas Aldurazyme sumažino maždaug 60 proc. Tyrimo pabaigoje pusės gydytų vaikų kepenys buvo normalaus dydžio.

Kokia rizika siejama yra su Aldurazyme vartojimu?

Daugelį šalutinių reiškinių gydant Aldurazyme sukelia infuzijos procedūra, o ne pats vaistas. Kai kurie jų būna sunkūs, bet laikui bėgant jų mažėja. Dažniausi vyresniems nei 5 metų pacientams pasireiškiantys (daugiau nei 1 pacientui iš 10) gydymo vaistu Aldurazyme šalutiniai reiškiniai yra galvos skausmas, pykinimas, pilvo skausmas, odos paraudimas, artropatija (sąnarių pažeidimas), artralgija (sąnarių skausmas), nugaros skausmas, galūnių (rankų ar pėdų) skausmas, veido paraudimas, karščiavimas ir odos reakcijos infuzijos vietoje. Jaunesniems nei penkerių metų pacientams (daugiau nei 1 iš 10) dažniausiai pasireiškia padidėjęs kraujospūdis, pablogėjęs aprūpinimas deguonimi (plaučių funkcijos rodiklis), tachikardija (padažnėjęs širdies ritmas), karščiavimas ir šaltkrėtis. Išsamų visų šalutinių reiškinių, apie kuriuos pranešta gydant Aldurazyme, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Beveik visų vaistu Aldurazyme gydomų pacientų organizmas ima gaminti antikūnus (baltymus, kuriuos organizmas ima gaminti reaguodamas į Aldurazyme). Kokį poveikį tai gali turėti vaisto vartojimo saugumui ir veiksmingumui, iki galo neištirta.

Aldurazyme negalima vartoti esant stipriai alergijai laronidazei arba kitoms vaisto sudėtinėms medžiagoms.

Kodėl Aldurazyme buvo patvirtintas?

CHMP nusprendė, kad Aldurazyme veiksmingai slopina MPS I simptomus. Komitetas nusprendė, kad Aldurazyme teikiama nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo rinkodaros leidimą.

Iš pradžių Aldurazyme rinkodaros leidimas suteiktas išimtinėmis sąlygomis, kadangi dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie šį vaistą. Bendrovei pateikus reikalaujamą papildomą informaciją, 2015 m. gruodžio 16 d. išimtinių aplinkybių sąlyga panaikinta.

Kita informacija apie Aldurazyme

Europos Komisija 2003 m. birželio 10 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Aldurazyme rinkodaros leidimą.

Išsamų Aldurazyme EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Daugiau informacijos apie gydymą Aldurazyme rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2015–11.