



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/529536/2016
EMA/H/C/000700

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Elaprase

idursulfazė

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

Kas yra Elaprase?

Elaprase – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos idursulfazės. Gaminamas šio vaisto koncentratas, iš kurio ruošiamas infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas.

Kam vartojamas Elaprase?

Elaprase vartojamas Hunterio sindromu sergantiems pacientams gydyti. Šis vaistas skirtas ilgalaikiam vartojimui.

Hunterio sindromas, dar žinomas II tipo mukopolisacharidozės pavadinimu, yra reta paveldima liga, kuria daugiausia serga vyrai. Hunterio sindromu sergančio paciento organizmas negamina fermento iduronato-2-sulfatazės. Šis fermentas organizmui reikalingas glikozaminoglikanams (GAG) skaidyti. Kadangi Hunterio sindromu sergančio paciento organizmas šių medžiagų neskaido, GAG palaipsniui kaupiasi daugelyje organų ir jiems kenkia. Tai sukelia įvairių simptomų, ypač kvėpavimo ir vaikščiojimo sutrikimų. Negydomi šie simptomai ilgainiui darosi vis sunkesni.

Kadangi Hunterio sindromu sergančių pacientų yra nedaug, liga laikoma reta, ir Elaprase 2001 m. gruodžio 11 d. buvo priskirtas retiesiems vaistams (retoms ligoms skirtiems gydyti vaistams).

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.



Kaip vartoti Elaprased?

Gydymą Elaprased turi stebėti gydytojas ar sveikatos priežiūros specialistas, turintis Hunterio sindromo ar kitų medžiagų apykaitą veikiančių paveldimų ligų gydymo patirties.

Elaprased skiriamas kartą per savaitę kaip infuzija į veną, jo dozė – 0,5 mg kilogramui kūno svorio. Infuzija turi trukti tris valandas. Jei infuzija pacientui nesukelia jokių reakcijų (odos bėrimo, niežulio, karščiavimo, galvos skausmo, aukšto kraujospūdžio ar odos paraudimo), infuzijos laiką galima palaipsniui mažinti iki vienos valandos.

Klinikoje jau kelis mėnesius atliekamas infuzijas gerai toleruojantiems pacientams infuzijas galima pradėti daryti namuose. Infuzijos namuose turi būti atliekamos su gydytojo arba slaugytojo priežiūra.

Kaip veikia Elaprased?

Veiklioji Elaprased medžiaga, idursulfazė, yra žmogaus fermento iduronato-2-sulfatazės kopija. Ji pakeičia fermentą, kurio Hunterio sindromu sergančių pacientų organizme nėra arba yra per mažai. Šis fermentas padeda skaidyti glikozaminoglikanus, neleidžia jiems kauptis organizme ir taip padeda slopinti ligos simptomus.

Kaip buvo tiriamas Elaprased?

Pagrindiniame Elaprased tyrime dalyvavo 96 berniukai ir vyrai nuo 5 iki 31 metų. Jame Elaprased veiksmingumas buvo lyginamas su placebo (preparato be veikliosios medžiagos). Pagrindinis vaisto veiksmingumo rodiklis buvo vertinamas pagal plaučių funkciją (forsuotą gyvybinę plaučių talpą – maksimalų oro kiekį, kurį pacientas gali iškvėpti) ir pagal atstumą, kurį pacientai galėjo nueiti per 6 minutes, taip nustatant, kiek liga paveikė širdį, plaučius, sąnarius ir kitus organus. Šie matavimai buvo atlikti prieš gydymą ir po metų gydymo.

Kokia Elaprased nauda nustatyta tyrimuose?

Tyrimas parodė, kad Elaprased pagerina pacientų plaučių funkciją ir gebėjimą vaikščioti. Tyrimo pradžioje pacientai per šešias minutes vidutiniškai nueidavo apie 395 metrus. Metus Elaprased vartoję pacientai per 6 minutes galėjo nueiti vidutiniškai 43 metrais toliau nei prieš gydymą, o placebo vartoję pacientai – 8 metrais toliau nei prieš gydymą. Vaistas taip pat pagerino plaučių funkciją, o placebo vartojusių pacientų plaučių funkcija truputį pablogėjo.

Kokia rizika siejama su Elaprased vartojimu?

Dažniausi gydymo Elaprased šalutiniai reiškiniai yra susiję su infuzija, įskaitant odos reakcijas (odos bėrimą ar niežulį), karščiavimą, galvos skausmą, aukštą kraujospūdį ir paraudimą. Kiti, daugiau nei 1 pacientui iš 10 pasireiškę, šalutiniai reiškiniai buvo švokštimas, dispnėja (dusulys), pilvo skausmas, pykinimas, dispepsija (rėmuo), viduriavimas, vėmimas, tinimas infuzijos vietoje ir skausmas krūtinėje. Kai kuriems Elaprased vartojusiems pacientams pasireiškė stiprios alerginės reakcijos. Išsamų visų šalutinių reiškinių, apie kuriuose pranešta gydant Elaprased, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Elaprased negalima skirti pacientams, kuriems idursulfazė ar kita vaisto pagalbinė medžiaga anksčiau yra sukėlus sunkią arba gyvybei pavojų keliančią alerginę (anafilaksinę) reakciją, jei jų alergijos negalima kontroliuoti. Pacientams, kurie jau yra patyrę tokių alerginių reakcijų, Elaprased reikia skirti atsargiai. Jiems atliekant infuziją šalia turi būti patyrę specialistai ir pacientui gaivinti reikalinga įranga.

Kodėl Elaprased buvo patvirtintas?

CHMP padarė išvadą, kad tyrime nustatytas pagerėjimas, nors ir nedidelis, įrodo šio vaisto naudą Hunterio sindromu sergantiems pacientams. Komitetas nusprendė, kad Elaprased nauda yra didesnė už keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo registracijos pažymėjimą.

Elaprased registruotas išimtinėmis aplinkybėmis. Tai reiškia, kad dėl Hunterio sindromo retumo nebuvo įmanoma gauti išsamios informacijos apie Elaprased. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir prireikus atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Elaprased?

Elaprased gaminanti bendrovė toliau tirs ilgalaikį vaisto poveikį, ypač plaučiams, širdžiai ir kraujagyslėms, ir tai, ar šis vaistas skatina organizmą gaminti antikūnus, kurie galėtų turėti poveikį vaisto saugumui ir veiksmingumui.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Elaprased vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Elaprased vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Elaprased

Europos Komisija 2007 m. sausio 8 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Elaprased registracijos pažymėjimą.

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

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Elaprased santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2016-09.