



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR santrauka plačiamai visuomenei

---

# Naglazyme

## galsulfazė

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

### Kas yra Naglazyme?

Naglazyme yra infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos galsulfazės.

### Kam vartojamas Naglazyme?

Naglazyme skiriamas IV tipo mukopolisacharidoze (MPS VI arba Maroto-Lami (*Maroteaux-Lamy*) sindromu) sergantiems pacientams. Šią ligą sukelia fermento N-acetilgalaktozamino 4-sulfatazės, kuris organizme skaido medžiagas, vadinamuosius glikozaminoglikanus (GAG), trūkumas. Jei šio fermento nėra, glikozaminoglikanai neskaidomi ir kaupiasi ląstelėse. Dėl to pasireiškia ligos požymių, iš kurių pastebimiausi – mažas ūgis, didelė galva ir apsunkintas judėjimas. Liga dažniausiai nustatoma nuo vienerių iki penkerių metų vaikams.

Kadangi MPS VI sergančių pacientų skaičius nedidelis, ši liga laikoma reta ir 2001 m. vasario 14 d. Naglazyme buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

### Kaip vartoti Naglazyme?

Gydymą vaistu Naglazyme turi stebėti gydytojas, turintis MPS VI ar panašiomis ligomis sergančių pacientų gydymo patirties. Preparato skiriama patalpoje, kur yra galimybė pasinaudoti gaivinimo įranga, jei jos staiga prireiktų.



Naglazyme infuzija skiriama vieną kartą per savaitę ir sušvirksčiama per keturias valandas. Rekomenduojama dozė yra 1 mg kilogramui kūno svorio. Prieš kiekvieną infuziją pacientams turi būti skiriama alerginės reakcijos riziką mažinančio antihistamininio vaisto. Pacientams taip pat gali būti skiriama vaistų nuo karščiavimo.

## **Kaip veikia Naglazyme?**

Naglazyme yra pakaitinės fermentų terapijos preparatas. Taikant pakaitinę fermentų terapiją pacientas gauna trūkstamo fermento. Veiklioji Naglazyme medžiaga, galsulfazė, yra žmogaus fermento N-acetilgalaktozamino 4-sulfatazės kopija. Naglazyme padeda suskaidyti glikozaminoglikanus ir neleidžia jiems kauptis ląstelėse. Tai gali sumažinti MPS VI simptomus, pvz., padidinti atstumą, kurį gali nueiti šia liga sergantys žmonės.

Galsulfazė gaminama rekombinacinės DNR technologijos būdu: ją gamina ląstelė, kuriai buvo implantuotas atitinkamas šio fermento gamybą užtikrinantis genas (DNR).

## **Kaip buvo tiriamas Naglazyme?**

Viename pagrindiniame tyrime, kuriame dalyvavo trisdešimt devyni 5–29 metų amžiaus pacientai, sergantys MPS VI, buvo lyginamas Naglazyme ir placebo (gydomojo poveikio neturinčio preparato) poveikis. Pagrindinis preparato veiksmingumo rodiklis buvo atstumas, kurį pacientai galėjo nueiti po 24 gydymo savaitių.

## **Kokia Naglazyme nauda nustatyta tyrimuose?**

Naglazyme buvo veiksmingesnis už placebo. Po 24 gydymo savaitių vidutinis Naglazyme gydytų pacientų nueitas atstumas per 12 min. padidėjo 109 metrais, o gydytų placebo – 18 metrų.

## **Kokia rizika siejama su Naglazyme vartojimu?**

Tyrimuose dažniausiai nustatyti Naglazyme šalutiniai reiškiniai (pasireiškę daugiau kaip 1 pacientui iš 10) buvo ausies skausmas, dispnėja (pasunkėjęs kvėpavimas), pilvo ir kitoks skausmas. Pacientams taip pat gali pasireikšti reakcijos į infuziją (karščiavimas, šaltkrėtis, bėrimas ir dilgėlinė). Išsamų visų šalutinių reiškinų, apie kuriuos pranešta gydant Naglazyme, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Naglazyme negalima skirti žmonėms, kurie gali būti itin jautrūs (alergiški) galsulfazei arba bet kurioms kitoms vaisto sudėtinėms medžiagoms.

## **Kodėl Naglazyme buvo patvirtintas?**

CHMP nusprendė, kad Naglazyme nauda yra didesnė už keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo rinkodaros teisę.

Komitetas pažymėjo, kad nors jaunesni negu penkerių metų pacientai nebuvo įtraukti į pagrindinį Naglazyme tyrimą, juos būtina gydyti, jei jie serga sunkios formos MPS VI.

Naglazyme rinkodaros teisė buvo suteikta išimtinėmis sąlygomis. Tai reiškia, kad dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti išsamios informacijos apie Naglazyme. Kasmet Europos vaistų agentūra peržiūri visą naują informaciją ir prireikus atnaujina šią santrauką.

## **Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Naglazyme?**

Naglazyme gaminanti bendrovė atlieka tyrimus, kurie turėtų padėti įvertinti ilgalaikį Naglazyme saugumą ir veiksmingumą nėščioms ir žindančioms moterims ir jaunesniems nei penkerių metų amžiaus vaikams, siekdama nustatyti, ar jų organizme susidaro antikūnų (dėl gydymo Naglazyme organizme susidarantių baltymų, kurie gali turėti įtakos gydymo veiksmingumui) ir iširti preparato sukeltus šalutinius reiškinius. Bendrovė taip pat atlieka tyrimus tinkamiausiai reguliariai skiriamai ilgalaikiai preparato dozei nustatyti.

## **Kita informacija apie Naglazyme**

Europos Komisija 2006 m. sausio 24 d. bendrovei „BioMarin Europe Limited“ suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojančią Naglazyme rinkodaros teisę. Rinkodaros teisė galioja neribotą laikotarpį.

Retųjų vaistų komiteto nuomonės apie Naglazyme santrauką galima rasti agentūros interneto svetainėje [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Išsamų Naglazyme EPAR galima rasti agentūros interneto svetainėje adresu [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Daugiau informacijos apie gydymą Naglazyme galima rasti pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba gauti iš savo gydytojo ar vaistininko.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2010–12.