



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/645183/2022
EMA/H/C/005352

Upstaza (eladokagenas eksuparvovekas)

Upstaza apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Upstaza ir kam jis vartojamas?

Upstaza yra genų terapijos vaistas, skirtas 18 mėnesių ir vyresnių pacientų, kuriems genetiškai patvirtinta sunkaus aromatinės L-aminorūgšties dekarboksilazės (angl. *aromatic L-amino acid decarboxylase*, AADC) trūkumo diagnozė, gydymui.

AADC trūkumas yra paveldima liga, kuri pažeidžia nervų sistemą ir sukelia tokius simptomus, kaip vystymosi sulėtėjimas, žemas raumenų tonusas ir negalėjimas kontroliuoti galūnių judėjimo.

AADC trūkumas laikomas retu, todėl 2016 m. lapkričio 18 d. Upstaza buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161786.

Upstaza yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis genų terapijos vaistas. Tai tokie vaistai, kurie perneša genus į organizmą.

Upstaza sudėtyje yra eladokageno eksuparvoveko – funkcinės AADC geno versijos, esančios modifikuotame viruse (adenoasocijuoto viruso vektoriuje). Vaiste naudojamas adenoasocijuotas virusas žmonėms ligų nesukelia.

Kaip vartoti Upstaza?

Upstaza galima įsigyti tik pateikus receptą. Jį suleidžia neurochirurgas (galvos smegenų operacijų specialistas) operacinėje taikant nejautrą. Pacientui atliekama infuzija į galvos smegenis. Po infuzijos atliekamas galvos smegenų skenavimas. Gydytojas stebės paciento atsigavimą ir stebės, ar po operacijos ir vaisto infuzijos jam nepasireiškia šalutinis poveikis.

Daugiau informacijos apie Upstaza vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Upstaza?

AADC trūkumą sukelia AADC fermentą gaminančio geno mutacijos. Šio fermento reikia dopaminui, neuromediatoriui, kuris padeda kontroliuoti judesius, gaminti. Pacientų, kuriems nustatytas AADC trūkumas, organizme nėra tinkamai veikiančio fermento, todėl galvos smegenyse dopamino pagaminama labai mažai arba jo išvis negaminama. Vaistą sudaro virusas, kuriame yra veikianti AADC

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



geno kopija. Tikimasi, kad virusas perneš AADC geną į nervines ląsteles ir taip jos galės pagaminti trūkstamo fermento. Tai savo ruožtu turėtų leisti ląstelėms pagaminti dopamino, kad jos galėtų tinkamai veikti, ir taip palengvinti šios ligos simptomus.

Kokia Upstaza nauda nustatyta tyrimuose?

Upstaza nauda įrodyta atlikus tris pagrindinius tyrimus, kuriuose dalyvavo 28 vaikai nuo 1,5 iki 8,5 metų, kuriems atlikus genetinius tyrimus buvo nustatytas sunkus AADC trūkumas. Pagrindiniai veiksmingumo rodikliai buvo gebėjimas kontroliuoti galvos judesius ir savarankiškai sėdėti. Tyrimai parodė, kad maždaug 70 proc. (14 iš 20) pacientų pajėgė kontroliuoti galvos judesius, o maždaug 65 proc. (12 iš 20) pacientų po dvejų metų galėjo sėdėti be pagalbos. Iš mokslinėje literatūroje pateiktų duomenų matyti, kad pacientams, kuriems nustatytas sunkus AADC trūkumas ir kuriems nebuvo taikomas joks gydymas, šių vystymosi etapų pasiekti nepavyko.

Kokia rizika susijusi su Upstaza vartojimu?

Dažniausias Upstaza šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra diskinezija (nekontroliuojami judesiai).

Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų vartojant Upstaza sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Upstaza buvo registruotas ES?

Atlikus tris pagrindinius tyrimus nustatyta, kad Upstaza padeda sustiprinti AADC trūkumą turinčių pacientų gebėjimą kontroliuoti galvos judesius ir sėdėti. Kadangi AADC trūkumas yra labai reta liga, šis tyrimas buvo nedidelis, bet iš turimų per trumpą laiką surinktų duomenų buvo matyti, kad Upstaza gali padėti pasiekti svarbius vystymosi tikslus vaikams. Nors duomenų apie Upstaza saugumą nėra daug, laikomasi nuomonės, kad šiuo metu žinomus šalutinius reiškinius galima kontroliuoti. Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Upstaza nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir, atsižvelgiant į ligos sunkumą ir į tai, kad kol kas nėra vaistų nuo šios ligos, jis gali būti registruotas vartoti ES, taip pat suaugusiems, kuriems nustatytas AADC trūkumas.

Upstaza registruotas išimtinėmis sąlygomis. Tai reiškia, kad indikacija yra tokia reta, kad nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie šį vaistą. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Upstaza?

Kadangi Upstaza registruotas išimtinėmis sąlygomis, juo prekiaujanti bendrovė pateiks papildomus šiuo metu dar neužbaigtų tyrimų duomenis ir atliks naują tyrimą, kad išsamiau apibūdintų ilgalaikį Upstaza saugumą ir veiksmingumą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Upstaza vartojimą?

Upstaza prekiaujanti bendrovė privalo užtikrinti, kad ligoninėse, kuriose vartojamas Upstaza, dirbantys darbuotojai turėtų reikiamas žinias, patalpas ir būtų išmokyti dirbti su šiuo vaistu.

Bendrovė sveikatos priežiūros specialistams ir pacientams turi pateikti mokomąją medžiagą apie chirurginę procedūrą ir galimą šalutinį poveikį.

Bendrovė taip pat turi pateikti papildomų duomenų, įrodančių, kad Upstaza visuomet gaminamas laikantis tų pačių kokybės standartų.

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

Kaip ir visų vaistų, Upstaza vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Upstaza šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Upstaza

Daugiau informacijos apie Upstaza rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/upstaza.