



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/329151/2022
EMA/H/C/004850

Xenpozyme (*olipudazė alfa*)

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

Kas yra Xenpozyme ir kam jis vartojamas?

Xenpozyme – tai vaistas, skirtas pacientams, sergantiems rūgštine sfingomielinazės stoka (RSMS) – genetinė liga, kuri paprastai vadinama A, A/B arba B tipo Nimano-Piko (angl. *Niemann-Pick*) liga. Nimano-Piko liga yra trijų rūšių (A, B ir C). Jų genetinės priežastys ir simptomai skiriasi. Xenpozyme skiriamas A/B arba B tipo liga sergantiems pacientams. Vaistas skirtas gydyti su galvos smegenimis nesusijusius RSMS simptomus.

Nimano-Piko liga laikoma reta liga, todėl 2016 m. gruodžio 5 d. Xenpozyme 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/eu-3-01-056.

Xenpozyme sudėtyje yra veikliosios medžiagos olipudazės alfa.

Kaip vartoti Xenpozyme?

Xenpozyme galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi prižiūrėti sveikatos priežiūros specialistas, turintis RSMS ar kitų paveldimų medžiagų apykaitos sutrikimų gydymo patirties. Xenpozyme turi naudoti sveikatos priežiūros specialistas, galintis skirti būtiną medicininę pagalbą, jei reikėtų suvaldyti galimas sunkias reakcijas, kaip antai, visame organizme pasireiškiančias padidėjusio jautrumo (alergines) reakcijas (žr. informacijos apie riziką skyrių).

Kas dvi savaites atliekama Xenpozyme infuzija (vaistas lašinamas į veną). Rekomenduojama vaisto dozė priklauso nuo paciento kūno svorio. Gydymas pradedamas nuo nedidelės dozės, kuri palaipsniui didinama iki rekomenduojamos dozės, paprastai – po 14–16 savaičių. Priklausomai nuo vaisto dozės, infuzijos trukmė svyruoja nuo 18 iki 220 minučių (beveik 3,7 valandos).

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

Kaip veikia Xenpozyme?

Dėl genetinės mutacijos A, A/B ir B tipo RSMS sergančių pacientų organizme trūksta veikiančio fermento, rūgštinės sfingomielinazės, kuris randamas lizosomose (maistines ir kitas medžiagas skaidančiose kūno ląstelių dalyse). Jis reikalingas tam tikriems riebalams skaidyti. Susikaupę riebalai



keičia ląstelių veikimą ir sukelia jų žūtį, taip sutrikdydami normalų audinių ir organų, įskaitant kepenis, blužnį, plaučius, širdį ir smegenis, veikimą.

Xenpozyme veikioji medžiaga olipudazė alfa yra normalaus rūgštinės sfingomielinazės fermento kopija. Manoma, kad šis vaistas pakeis ydingą pacientų fermentą ir taip sumažins riebalų kaupimąsi lizosomose bei palengvins kai kuriuos ligos simptomus. Tačiau nemanoma, kad šis vaistas palengvins galvos smegenis pažeidžiančius simptomus, nes jis negali prasiskverbti pro kraujo–galvos smegenų barjerą, kuris skiria kraują nuo galvos smegenų audinio.

Kokia Xenpozyme nauda nustatyta tyrimų metu?

Nustatyta, kad, vartojant Xenpozyme, gerėja tiek suaugusiųjų, tiek vaikų plaučių funkcija ir mažėja blužnies tūris.

Atliekant pagrindinį tyrimą su 36 suaugusiaisiais, sergančiais B arba A/B tipo RSMS, plaučių funkcijos pagerėjimas buvo vertinamas pagal difuzinės plaučių talpos anglies monoksidui, tam tikros rūšies dujoms, kurios naudojamos mažais kiekiais siekiant nustatyti iš plaučių į kraujotaką patenkančio deguonies kiekį, (DLco) pokytį. Po vieno gydymo metų Xenpozyme vartojusių pacientų grupėje DLco padidėjo daugiau (vidutiniškai 22 proc.), nei placebo (preparatą be veikliosios medžiagos) vartojusių pacientų grupėje (vidutiniškai 3 proc.). Kaip ir kitų su plaučiais susijusių ligų atveju, reikšmingu laikomas didesnis nei 15 proc. padidėjimas.

Be to, po vieno gydymo metų blužnies tūris Xenpozyme gydomų pacientų grupėje sumažėjo vidutiniškai 39 proc., o vartojusių placebo – padidėjo vidutiniškai 0,5 proc. Gošė ligos (kita genetinė liga, kuria sergant blužnyje ir kituose organuose kaupiasi riebalai) atveju, kliniškai reikšmingu laikomas 30 proc. blužnies tūrio sumažėjimas.

Antras pagrindinis tyrimas atliktas su 20 jaunesnių nei 18 metų pacientų (4 paaugliais, 9 vaikais, 7 kūdikiais ir (arba) mažais vaikais), kuriems visiems buvo skiriama Xenpozyme. Nustatyta, kad šis vaistas veikia taip pat ir jo poveikis vaikams ir suaugusiesiems yra vienodas. Taip pat nustatyta, kad pagerėjo plaučių funkcija ir blužnies tūris. Po vieno gydymo metų DLco vidutiniškai padidėjo 33 proc., o blužnies tūris sumažėjo 49 proc.

Kokia rizika susijusi su Xenpozyme vartojimu?

Dažniausias Xenpozyme šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas, karščiavimas, niežulys, urtikarija (niežtintis bėrimas), pykinimas (šleikštulys), vėmimas, pilvo skausmas, raumenų skausmas ir padidėjusi C reaktyviojo baltymo (uždegimo rodiklio) koncentracija kraujyje. Atliekant klinikinius tyrimus, su infuzija susijusios reakcijos, įskaitant padidėjusio jautrumo (alerginės reakcijas), pasireiškė daugiau kaip 1 iš 2 suaugusiųjų ir maždaug 2 iš 3 vaikų.

Atliekant klinikinius tyrimus pranešta apie tokį sunkų šalutinį poveikį kaip, ekstrasistolija (papildo miširdies susitraukimai, dėl kurių sutrinka normalus širdies ritmas) pacientams, kurių širdies raumuo jau buvo pažeistas. Gauta pranešimų apie vaikams pasireiškusią anafilaksinę reakciją (staigią sunkią alerginę reakciją) ir sunkius urtikarijos, išbėrimo, padidėjusio jautrumo ir padidėjusios alanino aminotransferazės (kepenų fermento) koncentracijos kraujyje atvejus. Su infuzija susijusios sunkios padidėjusio jautrumo reakcijos dažniau pasireiškė vaikams nei suaugusiesiems.

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

Kodėl Xenpozyme buvo registruotas ES?

RSMS sergančių pacientų gydymo galimybės labai ribotos. Nustatyta, kad Xenpozyme turi kliniškai reikšmingą naudą pacientams, kuriems diagnozuota B arba A/B tipo RSMS, gerina plaučių funkciją ir mažina blužnies tūrį. Saugumo atžvilgiu, Xenpozyme šalutinis poveikis paprastai yra lengvas arba vidutinio sunkumo. Gali pasireikšti sunkesnis šalutinis poveikis, ypač sunkios alerginės reakcijos, bet laikomasi nuomonės, kad jį galima kontroliuoti taikant rizikos mažinimo priemones. Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Xenpozyme nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Xenpozyme vartojimą?

Xenpozyme prekiaujanti bendrovė turi sveikatos priežiūros specialistus, pacientus arba juos slaugančius asmenis aprūpinti šviečiamąja medžiaga, kuri padėtų kontroliuoti sunkaus šalutinio poveikio riziką, ypač su infuzija susijusias sunkias alergines reakcijas. Tai yra informacija apie požymius ir simptomus, kuriuos reikia atidžiai stebėti, ir apie tai, kokių veiksmų rekomenduojama imtis pasireiškus šalutiniam poveikiui.

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

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

Kita informacija apie Xenpozyme

Daugiau informacijos apie Xenpozyme rasite Agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xenpozyme.