

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Aldurazyme

laronidāze

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Aldurazyme*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu atzinumu par reģistrācijas apliecības piešķiršanu un ieteikumus par *Aldurazyme* lietošanu.

Kas ir *Aldurazyme*?

Aldurazyme ir infūziju (ievadīšanai pa pilienam vēnā) šķīdums, kas satur aktīvo vielu laronidāzi.

Kāpēc lieto *Aldurazyme*?

Aldurazyme izmanto fermentaizstāšanas terapijā pacientiem, kam ir diagnosticēta mukopolisaharidoze-I (MPS-I; α -L-iduronidāzes nepietiekamība), lai ārstētu slimības neneiroloģiskos simptomus (simptomus, kas nav saistīti ar smadzenēm vai nerviem). MPS-I ir reta iedzimta slimība, kad α -L-iduronidāzes fermenta aktivitātes līmenis organismā ir daudz zemāks par normu. Tas nozīmē, ka dažas vielas, ko dēvē par glikozaminoglikāniem, netiek noārdītas un uzkrājas daudzos ķermeņa orgānos, radot to bojājumus. Neneiroloģiskie MPS-I simptomi var būt palielinātas aknas, stīvas locītavas, kas apgrūtina kustības, samazināts plaušu tilpums, sirds un acu slimības.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Aldurazyme*?

Ārstēšana ar *Aldurazyme* ir jāuzrauga ārstam ar pieredzi MPS I vai citu iedzimtu vielmaiņas slimību pacientu ārstēšanā. *Aldurazyme* jālieto slimnīcās vai klīnikās, kas aprīkotas ar reanimācijas iekārtām, un slimniekiem pirms infūzijas var būt nepieciešamas zāles alerģiskas reakcijas profilaksei. *Aldurazyme* lieto reizi nedēļā infūzijas veidā vēnā. Šīs zāles ir paredzētas ilgstošai lietošanai.

Kā Aldurazyme darbojas?

Aldurazyme aktīvā viela laronidāze ir cilvēka fermenta α -L-iduronidāze kopija. Tā tiek iegūta ar paņēmienu, ko sauc par "rekombinantās DNS tehnoloģiju"— šis ferments tiek ražots šūnās, kurās ievadīts gēns (DNS), kas padara tās spējīgas sintezēt laronidāzi. Laronidāzi izmanto kā fermenta aizstājējterapiju; tas nozīmē, ka šādā veidā šī viela kompensē fermenta trūkumu MPS-I pacientiem. Tas samazina MPS-I simptomus, uzlabojot pacientu dzīves kvalitāti.

Kā noritēja Aldurazyme izpēte?

Aldurazyme iedarbību salīdzināja ar placebo (fiktīvu ārstēšanu) 45 pacientiem vecumā no sešiem gadiem, kam diagnosticēta MPS-I. Galvenais iedarbīguma rādītājs bija plaušu forsētās izelpas tilpums (plaušu darbības rādītājs) un attālums, ko pacienti spēja noiet sešu minūšu laikā. Šos kritērijus vērtēja pirms un pēc 26 nedēļu ārstēšanas kursa. Pēc tam pētījums turpinājās līdz pat četriem gadiem, un visi pacienti lietoja *Aldurazyme*.

Aldurazyme iedarbību pētīja, apsekojot arī 20 bērnus, kas jaunāki par pieciem gadiem un kam *Aldurazyme* ievadīja gadu. Pētījumā galvenokārt tika novērtēts zāļu drošums, taču noteica arī zāļu spēju samazināt glikozaminoglikānu līmeni urīnā, kā arī aknu izmēru.

Kādas bija Aldurazyme priekšrocības šajos pētījumos?

Šajā pētījumā tika pierādīts, ka *Aldurazyme* pēc 26 nedēļām uzlabo gan pacientu plaušu forsētās izelpas tilpumu, gan viņu staigātspēju. Šī iedarbība saglabājas līdz pat četriem gadiem.

Bērniem vecumā līdz pieciem gadiem *Aldurazyme* samazināja glikozaminoglikānu līmeni urīnā par apmēram 60 %. Pusei ārstēto bērnu pētījuma beigās bija normāla izmēra aknas.

Kāds risks pastāv, lietojot Aldurazyme?

Visbiežāk novērotās nevēlamās *Aldurazyme* blakusparādības ir tieši infūzijas, nevis zāļu izraisītā reakcija. Dažas no šīm blakusparādībām ir smagas, bet blakusparādību skaits laika gaitā samazinās. Visbiežāk novērotās nevēlamās blakusparādības, ja *Aldurazyme* lieto pacienti, kas vecāki par pieciem gadiem (vairāk nekā 1 pacientam no 10), ir galvassāpes, slikta dūša, sāpes vēderā, izsitumi, artropātija (locītavu bojājumi), artralģija (sāpes locītavās), muguras sāpes, sāpes ekstremitātēs (plaukstās un pēdās), sasārtums, drudzis un reakcija infūzijas vietā. Pacientiem, kas jaunāki par pieciem gadiem, visbiežāk novērotās blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir paaugstināts asinsspiediens, samazināts skābekļa piesātinājums (plaušu darbības rādītājs), tahikardija (paātrināta sirdsdarbība), drudzis un drebuļi. Pilns visu *Aldurazyme* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Gandrīz visiem pacientiem, kam ievada *Aldurazyme*, rodas antivielas (olbaltumvielas, kas veidojas kā atbildes reakcija uz *Aldurazyme*). Pagaidām nav zināms, cik lielā mērā tās var ietekmēt zāļu nekaitīgumu un efektivitāti.

Aldurazyme nedrīkst lietot cilvēki, kam ir izteikta alerģija pret laronidāzi vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu.

Kāpēc *Aldurazyme* tika apstiprinātas?

Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) secināja, ka *Aldurazyme* ļauj efektīvi kontrolēt MPS-I simptomus. Komiteja nolēma, ka pacientu ieguvums pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt *Aldurazyme* reģistrācijas apliecību.

Sākotnēji *Aldurazyme* bija reģistrētas "izņēmuma kārtā", jo sakarā ar šīs slimības retumu apstiprināšanas laikā pieejamā informācija bija nepietiekama. Ņemot vērā, ka uzņēmums iesniedza pieprasīto papildinformāciju, "izņēmuma kārtā" tika atcelta trešdien, 2015. gada 16. decembrī.

Cita informācija par *Aldurazyme*

Eiropas Komisija 2003. gada 10. jūnijā izsniedza *Aldurazyme* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Aldurazyme* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Aldurazyme* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 11.2015.