



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/246404/2010
EMA/H/C/001032

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Firdapse¹ **amifampridīns**

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

Kas ir *Firdapse*?

Firdapse ir zāles, kas satur aktīvo vielu amifampridīnu. Tās ir pieejamas tabletēs (10 mg).

Kāpēc lieto *Firdapse*?

Firdapse lieto, lai ārstētu Lamberta-Ītona miastēnijas sindroma (LĪMS) simptomus pieaugušajiem. LĪMS ir slimība, kas pacientiem izpaužas kā muskuļu vājums, ko izraisa nervu nespēja pārvadīt elektriskos impulsus uz muskuļiem.

Tā kā LĪMS pacientu skaits ir mazs, slimību uzskata par retu, un 2002. gada 18. decembrī *Firdapse* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Firdapse*?

Ārstēšanu ar *Firdapse* drīkst sākt tikai tāda ārsta uzraudzībā, kuram ir pieredze LĪMS ārstēšanā.

Ieteicamā sākumdeva ir 15 mg dienā, ko reizi četrās līdz piecās dienās var palielināt par 5 mg līdz maksimālai devai 60 mg dienā. *Firdapse* lieto dalītās devās trīs vai četras reizes dienā, un atsevišķa deva nedrīkst būt lielāka par 20 mg. *Firdapse* jālieto kopā ar ēdienu.

¹ Agrāk sauktas *Zenas*.



Kā *Firdapse* darbojas?

Lai muskuļi sarautos, nerviem jānovada elektriskie impulsi uz muskuļiem ar tādas ķīmiskas signālvielas starpniecību, ko dēvē par acetilholīnu. Acetilholīns izdalās no nervgaliem "depolarizācijas" perioda laikā.

Firdapse aktīvā viela amifampridīns ir kālija kanālu blokators, kas novērš lādētu kālija daļiņu izdalīšanos no nervu šūnām. Tas pagarina depolarizācijas periodu, dodot nerviem vairāk laika izdalīt acetilholīnu, kas nepieciešams muskuļu saraušanās stimulēšanai.

Kā noritēja *Firdapse* izpēte?

Tā kā zāles, kas satur amifampridīnu, Eiropas Savienībā (ES) tiek lietotas jau vairāk nekā 20 gadus, uzņēmums iesniedza zinātniskajā literatūrā pieejamos pētījumu rezultātus par amifampridīnu, lai pamatotu *Firdapse* lietošanu. Divos publicētos pētījumos, kuros bija iesaistīti kopumā 38 pieaugušie ar LĪMS, amifampridīnu salīdzināja ar placebo (fiktīvu ārstēšanu). Galvenie efektivitātes rādītāji bija muskuļu darbības vērtējums, kā vērtēšanas sistēmu izmantojot neiroloģiskās nespējas skalu (*NDS*) vai kvantitatīvas smagas miastēnijas (*QMG*) vērtēšanas skalu. Pacientiem ar mazāku *NDS* vai *QMG* punktu skaitu ir labāka muskuļu darbība. Citā pētījumā apvienoja divu publicēto pētījumu datus un noskaidroja muskuļu darbības kopējo potenciālu (*CMAP*). *CMAP* ir muskuļu elektriskās aktivitātes mērs. Papildus tika pētīta *Firdapse* ietekme uz *QT* intervālu (sirds elektrisko aktivitāti).

Kāds ir *Firdapse* iedarbīgums šajos pētījumos?

Firdapse bija iedarbīgāka nekā placebo, ārstējot pacientus ar LĪMS. Vienā pētījumā pacientiem, kuri lietoja *Firdapse*, *NDS* samazinājās no 40 līdz 22 punktiem, salīdzinot ar samazinājumu līdz 35 punktiem pacientiem, kuri lietoja placebo. Otrā pētījumā konstatēja *QMG* punktu skaita samazināšanos par diviem punktiem pacientiem, kuri lietoja *Firdapse*, salīdzinot ar pieaugumu par 0,25 punktiem pacientiem, kuri lietoja placebo. Trešajā kombinētajā pētījumā pacientiem, kuri lietoja *Firdapse*, bija izteiktāka *CMAP* uzlabošanās nekā pacientiem, kuri lietoja placebo. *QT* pētījumā nekonstatēja amifampridīna ietekmi uz sirdsdarbību, kā tas bija redzams to veselo brīvprātīgo kardiogrammās, kuri piedalījās šajā pētījumā.

Kāds risks pastāv, lietojot *Firdapse*?

Visbiežāk novērotās *Firdapse* blakusparādības ir parestēzija (neparastas sajūtas, tādas kā tirpums un durstīšana) un kuņģa-zarnu trakta traucējumi, piemēram, epigastralģija (sāpes vēdera augšdaļā), caureja, slikta dūša (nelabums) un sāpes vēderā (sāpes kuņģī).

Firdapse nedrīkst lietot pacienti, kuriem ir epilepsija, vai pacienti ar nekontrolētu astmu vai iedzimtiem *QT* sindromiem (sirdsdarbības traucējumiem). Tās nedrīkst lietot vienlaikus ar sultoprīdu (antipsihotisku līdzekli) un zālēm, par kurām zināms, ka tās pagarina *QTc* intervālu (rada sirds elektriskās aktivitātes izmaiņas). Tās nedrīkst lietot arī ar zālēm, kurām ir šaurs terapeitiskās darbības diapazons. Zāles ar šauru terapeitiskās darbības diapazonu bieži var izraisīt blakusparādības, ja tās lieto devā, kas nedaudz pārsniedz ieteicamo devu.

Pilns visu *Firdapse* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Firdapse* tika apstiprinātas?

CHMP secināja, ka pacienta ieguvums, lietojot *Firdapse*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt *Firdapse* reģistrācijas apliecību.

Firdapse ir apstiprinātas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Firdapse*. Eiropas Zāļu aģentūra ik gadu pārbauda visu pieejamo jauno informāciju un vajadzības gadījumā atjaunina šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Firdapse* vēl ir sagaidāma?

Uzņēmums, kas ražo *Firdapse*, sniegs papildu datus no pētījumiem par vēzi eksperimentālos modeļos.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu un efektīvu *Firdapse* lietošanu?

Lai nodrošinātu iespējami nekaitīgu *Firdapse* lietošanu, ir izstrādāts riska pārvaldības plāns. Pamatojoties uz šo plānu, *Firdapse* zāļu aprakstā tika iekļauta drošuma informācija, kā arī lietošanas instrukcija, tostarp attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Uzņēmumam, kas tirgo *Firdapse*, tika papildus noteikta prasība izveidot pacientu reģistru ar LĪMS slimiem pacientiem. Uzņēmums nodrošinās, lai veselības aprūpes speciālistiem, kuri, domājams, lietos šīs zāles, būtu nodrošināta informācija, kā ievadīt viņu pacientus reģistrā.

Cita informācija par *Firdapse*.

Eiropas Komisija 2009. gada 23. decembrī izsniedza *Zenas* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā. Zāļu nosaukumu nomainīja uz *Firdapse* 2010. gada 28. janvārī.

Pilns *Firdapse* EPAR teksts ir atrodams Aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Firdapse* ir pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Firdapse* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 04.2014.