



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447417/2016
EMEA/H/C/001249

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Vpriv

alfa-velaglicerāze

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

Kas ir *Vpriv*?

Vpriv ir zāles, kas satur aktīvo vielu alfa-velaglicerāzi. Tās ir pieejamas kā pulveris, no kura pagatavo šķīdumu infūzijai (ievadīšanai vēnā pa pilienam).

Kāpēc lieto *Vpriv*?

Vpriv lieto Gošē slimības pacientu ilgstošai ārstēšanai. Gošē slimība ir reta, iedzimta slimība, kad cilvēkiem trūkst fermenta glikocerebrozidāzes, kas parasti noārda lipīdu, kuru dēvē par glikocerebrozīdu. Bez šā fermenta glikocerebrozīds uzkrājas organismā, parasti aknās, liesā un kaulos, kā rezultātā attīstās slimības simptomi — anēmija (mazs sarkano asinsšūnu skaits), nogurums, nelieli zilumi un nosliece uz asiņošanu, palielināta liesa un aknas, kā arī kaulu sāpes un lūzumi.

Vpriv lieto pacientiem, kuriem ir 1. tipa Gošē slimība; tā parasti skar aknas, liesu un kaulus.

Tā kā Gošē slimības pacientu skaits ir mazs, slimību uzskata par retu, un 2010. gada 9. jūnijā *Vpriv* apstiprināja kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Vpriv*?

Terapija ar *Vpriv* jāuzrauga ārstam, kuram ir pieredze, aprūpējot pacientus ar Gošē slimību.

Ieteicamā *Vpriv* deva ir 60 vienības uz kg ķermeņa svara, ko vienreiz divās nedēļās ievada vienu stundu ilgas infūzijas veidā. Devu var pielāgot atkarībā no pacientu simptomiem un reakcijas uz ārstēšanu. Slimnīcā ievada pirmās trīs infūzijas, bet pacientiem ar labu šo zāļu panesamību turpmākās



infūzijas var veikt mājas apstākļos. Infūzijas mājas apstākļos jāuzrauga veselības aprūpes speciālistam, kurš apmācīts neatliekamās palīdzības sniegšanā.

Kā *Vpriv* darbojas ?

Gošē slimību izraisa fermenta glikocerebrozidāzes trūkums. Alfa velaglicerāze aizstāj trūkstošo fermentu Gošē slimības pacientiem, palīdzot noārdīt glikocerebrozīdu un novēršot tā uzkrāšanos organismā.

Kā noritēja *Vpriv* izpēte?

Vienā pamatpētījumā iekļaujot 35 pacientus (tostarp 9 bērnus) ar 1. tipa Gošē slimību, *Vpriv* salīdzināja ar imiglicerāzi (citām zālēm Gošē slimības ārstēšanai). Galvenais efektivitātes rādītājs bija anēmijas — viena no slimības simptomiem — mazināšanās pēc 41 nedēļas. Turklāt pētījumā novērtēja citu slimības pazīmju kontroli, piemēram, trombocītu skaita palielināšanos asinīs, kā arī aknu un liesas izmēru samazināšanos.

Kādas bija *Vpriv* priekšrocības šajos pētījumos?

Vpriv bija tikpat iedarbīgas anēmijas mazināšanā kā imiglicerāze. *Vpriv* palielināja hemoglobīna (sarkano asins šūnu olbaltumvielas, kas piegādā skābekli) apjomu par aptuveni 1,6 g decilitrā (no 11,4 g/dl), bet imiglicerāze palielināja hemoglobīna apjomu par vidēji 1,5 g/dl (no 10,6 g/dl). Turklāt pētījumā pierādīja, ka *Vpriv* bija tikpat efektīvas kā imiglicerāze Gošē slimības citu simptomu kontrolē.

Kāds risks pastāv, lietojot *Vpriv*?

Visbiežāk novērotās *Vpriv* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir tādas ar infūziju saistītās reakcijas kā galvassāpes, reibonis, hipotensija (pazemināts asinsspiediens), hipertensija (paaugstināts asinsspiediens), nelabums (slikta dūša), astēnija (vājums) jeb nogurums (nespēks) un pireksija (drudzis) jeb paaugstināta ķermeņa temperatūra. Vissmagākās blakusparādības ir paaugstinātas jutības (alerģiskas) reakcijas.

Vpriv nedrīkst lietot cilvēkiem ar smagu alerģisku reakciju pret alfa velaglicerāzi vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu.

Pilns visu *Vpriv* izraisīto blakusparādību un ierobežojumu saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Vpriv* tika apstiprinātas?

CHMP nolēma, ka pacienta ieguvums, lietojot *Vpriv*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt to reģistrācijas apliecību.

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

Uzņēmums, kas ražo *Vpriv*, nodrošinās izglītojošus materiālus visiem ārstiem un pacientiem, kuri lieto *Vpriv*, informējot par to, kā pārvaldīt ar infūziju saistītu reakciju risku, kad zāles tiek lietotas mājas apstākļos.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā ir ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem nekaitīgas un efektīvas *Vpriv* lietošanas nolūkos.

Cita informācija par *Vpriv*

Eiropas Komisija 2010. gada 26. augustā izsniedza *Vpriv* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Vpriv* EPAR teksts atrodams Aģentūras tīmekļa vietnē: [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](#). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Vpriv* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Vpriv* ir pieejams Aģentūras tīmekļa vietnē [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](#).

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 06.2016.