

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Aldurazyme

Iaronidaži

Dan id-dokument huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Aldurazyme. Dan jispjega kif il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iwwaluta l-mediċina sabiex wasal għall-opinjoni favorevoli tiegħu li tingħata awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq u r-rakkomandazzjonijiet tiegħu dwar il-kundizzjonijiet ta' użu għal Aldurazyme.

X'inhu Aldurazyme?

Aldurazyme huwa soluzzjoni għal infużjoni (dripp) fil-vina li fih is-sustanza attiva Iaronidaži.

Għal xiex jintuża Aldurazyme?

Aldurazyme jintuża f'pazjenti b'dijanjożi kkonfermata ta' mukopolisakkarodoži I (MPS I; defiċjenza ta' α L iduronidaži), għat-trattament tas-sintomi mhux newroloġiċi (sintomi mhux marbuta mal-moħħ jew man-nervituri) tal-marda. L-MPS I hija marda rari ereditarja, li fiha l-livell tal-attività enzimatika ta' α L iduronidaži huwa ferm iktar baxx min-normal. Dan ifisser li m'hemmx id-degradazzjoni ta' sustanzi li jissejgħu glikosaminoglikani (GAGs), għalhekk dawn jakkumulaw fil-biċċa l-kbira tal-organi tal-ġisem u jagħmlulhom il-ħsara. Is-sintomi mhux newroloġiċi tal-MPS I jistgħu jkunu tkabbir tal-fwied, ebusija tal-ġogi b'konsegwenza ta' diffikultà fiċ-ċaqliq, tnaqqis tal-volum tal-pulmuni, mard tal-qalb u mard tal-għajnejn.

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta tat-tabib.

Kif jintuża Aldurazyme?

It-terapija b'Aldurazyme għandha tkun sorveljata minn tabib b'esperjenza fit-trattament ta' pazjenti b'MPS I jew mard metaboliku ereditarju ieħor. Aldurazyme għandu jingħata fi sptar jew klinika li fihom hemm disponibbli tagħmir ta' risusxittazzjoni u huwa possibbli li, qabel l-infużjoni, il-pazjenti jkun jehtigilhom jieħdu mediċini oħra għall-prevenzjoni ta' reazzjonijiet allergiċi. Aldurazyme jingħata darba fil-ġimgħa f'forma ta' infużjoni fil-vina. Huwa intiż għal użu fit-tul.

Kif jaħdem Aldurazyme?

Is-sustanza attiva f'Aldurazyme, il-laronidaži, hija kopja tal-enzima umana α L iduronidaži. Jiġi prodott permezz ta' metodu magħruf bħala 'teknoloġija tad-DNA rikombinanti': l-enzima hi magħmula minn ċelloli li ġiet introdotta fihom ġene (DNA) li tagħmilhom kapaċi jipproduċu l-laronidaži. Il-laronidaži tintuża bħala terapija enzimatika sostituttiva li jfisser li tissostitwixxi l-enzima li hija nieqsa fil-pazjenti b' MPS I. B' dan il-mod is-sintomi tal-MPS I huma kkontrollati, bil-konsegwenza li l-kwalità tal-ħajja tal-pazjenti titjieb.

Kif ġie studjat Aldurazyme?

Aldurazyme tqabbel ma' placebo (trattament finta) f' 45 pazjent minn sitt snin' il fuq b' dijanjożi konfermata ta' MPS I. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-kapaċità vitali furzata (FVC, kejl ta' kemm qed jaħdmu tajjeb il-pulmoni) u d-distanza li l-pazjenti rnexxielhom jimxu għal sitt minuti. Dawn tkejlu qabel u wara 26 ġimgħa ta' trattament. Wara dan, l-istudju kompli sa erba' snin u l-pazjenti kollha ġew ittrattati b'Aldurazyme.

Aldurazyme ġie studjat ukoll f'20 tifel u tifla ta' età inqas minn ħames snin, li ngħataw Aldurazyme għal sena. L-istudju eżamina prinċipalment is-sigurtà tal-medicina, iżda kejjel ukoll il-kapaċità tagħha li tnaqqas il-livelli tal-GAGs fl-awrina u d-daqs tal-fwied.

X'benefiċċji wera Aldurazyme waqt l-istudji?

L-istudju wera li Aldurazyme tejjeb kemm l-FVC kif ukoll il-kapaċità tal-pazjenti li jimxu wara 26 ġimgħa. Dan l-effett inżamm sa massimu ta' erba' snin.

Fit-tfal ta' età inqas minn ħames snin, Aldurazyme naqqas il-livelli tal-GAGs fl-awrina b'madwar 60%. Nofs it-tfal ittrattati kellihom fwied ta' daqs normali fit-tmiem tal-istudju.

X'riskji huma assoċjati ma' Aldurazyme?

Il-maġġoranza tal-effetti sekondarji osservati b'Aldurazyme huma reazzjonijiet ikkawżati mill-proċedura ta' infużjoni aktar milli mill-medicina stess. Uħud minnhom huma gravi, iżda maż-żmien l-għadd ta' effetti sekondarji għandhom tendenza li jonqsu. L-effetti sekondarji l-aktar komuni fil-pazjenti ta' aktar minn ħames snin (li dehru f'aktar minn pazjent 1 minn 10) kienu wġiġh ta' ras, nawżja (dardir), uġiġh addominali (uġiġh fl-istonku), raxx, artropatija (ħsara lill-ġogi), artralġija (uġiġh fil-ġogi), uġiġh fid-dahar, uġiġh fl-estremityajiet (idejn u saqajn), fwawar, piressija (deni) u reazzjonijiet fis-sit tal-infużjoni. Fil-pazjenti taħt l-età ta' ħames snin, l-effetti sekondarji l-aktar komuni (li dehru f'aktar minn pazjent 1 minn 10) kienu żieda fil-pressjoni tad-dem, tnaqqis tas-saturazzjoni tal-ossġenu (kejl ta' kemm qed jaħdmu tajjeb il-pulmoni), takikardija (żieda fil-frekwenza tat-taħbit tal-qalb), piressija u tertir. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrapportati b'Aldurazyme, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Kważi l-pazjenti kollha ttrattati b'Aldurazyme żviluppaw antikorpi (proteini prodotti bħala rispons għal Aldurazyme). L-effett li dawn l-antikorpi jistgħu jkollhom fuq is-sigurtà u l-effikaċja tal-medicina għadu mhux magħruf għal kollox.

Aldurazyme ma għandux jintuża f'persuni li jistgħu jkunu severament allerġiċi għal-laronidaži jew għal xi sustanza oħra tiegħu.

Għaliex gie approvat Aldurazyme?

The CHMP iddeċieda li Aldurazyme għandu kontroll effettiv fuq is-sintomi MPS I. Il-Kumitat iddeċieda li l-benefiċċji ta' Aldurazyme huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li Aldurazyme jingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Aldurazyme kien oriġinarjament awtorizzat taħt "ċirkostanzi ta' eċċezzjoni", għaliex minħabba li l-marda hija rari, kien hemm informazzjoni limitata disponibbli fi żmien l-approvazzjoni. Minħabba li l-kumpanija kienet ipprovdiet l-informazzjoni addizzjonali mitluba, iċ-ċirkostanzi ta' eċċezzjoni' intemmew fis-16 ta' Diċembru 2015.

Tagħrif ieħor dwar Aldurazyme

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Aldurazyme valida fl-Unjoni Ewropea kollha fl-10 ta' Ġunju 2003.

L-EPAR sfih għal Aldurazyme jinstab fis-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Aldurazyme, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Dan is-sommarju gie aġġornat l-aħħar f'11-2015.