

EMA/763262/2010  
EMA/H/C/000640

## Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

---

# Naglazyme

## galsulfase

Dan id-dokument huwa sommarju tar-Rapport Pubbliku Ewropew ta' Valutazzjoni (EPAR) għal Naglazyme. Huwa 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-kondizzjonijiet ta' użu għal Naglazyme.

## X'inhu Naglazyme?

Naglazyme huwa soluzzjoni għal infużjoni (dripp fil-vina) li fih is-sustanza attiva galsulfase (1 mg/ml).

## Għal xiex jintuża Naglazyme?

Naglazyme jintuża fit-trattament ta' pazjenti li għandhom mukopolisakkaridożi VI (MPS VI jew is-sindromu ta' Maroteaux-Lamy). Din il-marda hija kkawżata min-nuqqas tal-enzima msejha N-acetylgalactosamine 4-sulfatase, li hija meħtieġa għat-tkissir tas-sustanzi fil-ġisem magħrufa bħala glikosaminoglikani (GAGs). Jekk l-enzima ma tkunx preżenti, il-GAGs ma jkunux jistgħu jitkissru u jkomplu jakkumulaw fiċ-ċelloli. Dan jikkawża sinjali tal-marda, li l-aktar evidenti huma ġisem qasir, ras kbira, u diffikultà fil-mobilità. Normalment, issir dijanjożi tal-marda fi tfal ta' bejn sena u ħames snin.

Peress li n-numru ta' pazjenti li jbatu mill-MPS VI huwa wieħed baxx, il-marda hi kkunsidrata bħala 'rari', u fl-14 ta' Frar 2001, Naglazyme gie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina użata f'mard rari).

**Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib.**

## Kif jintuża Naglazyme?

Trattament b'Naglazyme għandu jkun issorveljat minn tabib b'esperjenza fil-kontroll ta' pazjenti b'MPS VI jew mard simili. Għandu jingħata fejn ikun hemm tagħmir ta' risuxxittazzjoni disponibbli f'każ ta' emerġenza medika.

Naglazyme jingħata bħala infużjoni ta' erba' sigħat darba fil-ġimgħa. Id-doża rakkomandata hija 1 mg għal kull kilogramm tal-ġisem. Qabel kull infużjoni, il-pazjenti għandhom jingħataw antistamina biex jitnaqqas ir-riskju ta' reazzjoni allergika. Il-pazjenti jistgħu jingħataw ukoll medicina għall-prevenzjoni tad-deni.

## **Kif jaħdem Naglazyme?**

Naglazyme hu terapija enzimatika sostituttiva. Terapija enzimatika sostituttiva tipprovdi pazjenti bl-enzima li m'għandhomx. Is-sustanza attiva f'Naglazyme, galsulfase, hija kopja tal-enzima umana N-acetylgalactosamine 4-sulfatase. Naglazyme jgħin fit-tkissir tal-GAGs u jwaqqafhom milli jatkattru fiċ-ċelloli. Dan jista' jtejjeb is-sintomi ta' MPS VI, fosthom l-abilità tal-pazjenti biex jimxu.

Galsulfase tiġi prodotta b'metodu magħruf bħala 'teknoloġija tad-DNA rikombinanti': l-enzima tiġi prodotta minn ċellula li tkun ingħatat ġene (DNA), li jagħmel il-produzzjoni tal-enzima possibbli.

## **Kif ġie studjat Naglazyme?**

Naglazyme tqabbel ma' placebo (trattament finta) fi studju ewlieni li kien jinvolvi 39 pazjent b'MPS VI ta' bejn ħames snin u 29 sena. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien id-distanza sa fejn setgħu jimxu l-pazjenti wara 24 ġimgħa ta' trattament.

## **X'benefiċċji wera Naglazyme matul l-istudji mwettqa?**

Naglazyme kien iktar effikaċi mill-placebo. Wara 24 ġimgħa, id-distanza medja li setgħu jimxu l-pazjenti fi 12-il minuta żdiedet għal 109 metri f'dawk ittrattati b'Naglazyme u 18-il metru f'dawk ittrattati bi placebo.

## **X'inhu r-riskju assoċjat ma' Naglazyme?**

Fl-istudji, l-iktar effetti sekondarji komuni b'Naglazyme (li dehru f'iktar minn pazjent 1 minn kull 10) kienu wġiġh fil-widnejn, dispnea (diffikultà fin-nifs), uġiġh addominali u wġiġh ġenerali. Il-pazjenti jista' jkollhom ukoll reazzjonijiet għall-infużjoni (bħal deni, tertir tal-bard, raxx u ħorriqija). Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrapportati b'Naglazyme, ara l-Fuljett ta' Tagħrif.

Naglazyme ma għandux jintuża minn persuni li jistgħu jkunu ipersensittivi (allergici) għal galsulfase jew għal xi ingredjenti oħra tiegħu.

## **Għaliex ġie approvat Naglazyme?**

Is-CHMP iddeċieda li l-benefiċċji ta' Naglazyme huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Il-Kumitat innota li, minkejja li pazjenti taħt il-ħames snin ma kinux inkluzi fl-istudju ewlieni ta' Naglazyme, huwa importanti li jiġu ttrattati jekk ikollhom forma gravi ta' MPS VI.

Naglazyme ġie awtorizzat taħt 'ċirkostanzi eċċezzjonali'. Dan ifisser li minħabba li l-marda hija rari, ma kienx possibbli li jingabar it-tagħrif kollu dwar Naglazyme. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ser tirrevedi kwalunkwe informazzjoni ġdida li tista' ssir disponibbli u dan is-sommarju ser jiġi aġġornat kif ikun meħtieġ.

## **X'tagħrif għadu mistenni dwar Naglazyme?**

Il-kumpanija li tipproduċi Naglazyme qiegħda twettaq studji biex teżamina s-sigurtà u l-effikaċja ta' Naglazyme fuq tul ta' żmien twil f'nisa tqal u li qegħdin ireddgħu u fi tfal taħt il-ħames snin, sabiex tara jekk dawn jiżviluppawx antikorpi (proteini prodotti fil-ġisem bħala rispons għal Naglazyme li jistgħu jaffettwaw ir-rispons għat-trattament) u sabiex jiġu osservati l-effetti sekondarji tal-medicina. Il-kumpanija qiegħda twettaq ukoll studji biex tiddetermina l-aħjar doża li għandha tingħata lil pazjenti regolament għal tul ta' żmien twil.

## **Tagħrif ieħor dwar Naglazyme:**

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Naglazyme lil BioMarin Europe Limited fl-24 ta' Jannar 2006. L-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq hija valida għal perjodu mhux limitat.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni dwar Naglazyme huwa disponibbli fis-sit elettroniku tal-Aġenzija [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

L-EPAR sħiħ ta' Naglazyme jinsab fuq is-sit tal-Aġenzija [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Naglazyme, aqra l-fuljett ta' tagħrif (huwa parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Dan is-sommarju gie agġornat l-aħħar f'12-2010.