



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/645173/2022
EMA/H/C/005352

Upstaza (eladocagene exuparvovec)

Ħarsa ġenerali lejn Upstaza u għaliex huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Upstaza u għal xiex jintuża?

Upstaza huwa medicina ta' terapija tal-ġeni li tintuża f'adulti u fi tfal li għandhom 18-il xahar u akbar b'defiċjenza aromatika severa ta' L-amino acid decarboxylase aromatiku (AADC) b'dijanjożi kkonfermata ġenetikament.

Id-defiċjenza AADC hija marda ereditarja li taffettwa s-sistema nervuża u twassal għal sintomi bħal dewmien fl-iżvilupp, ton dgħajjef tal-muskoli u inabilità li jiġi kkontrollat il-moviment tar-riglejn u tad-dirgħajn.

Id-defiċjenza tal-AADC hija rari, u Upstaza ġie denominat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fit-18 ta' Novembru 2016. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161786.

Upstaza huwa tip ta' medicina terapewtika avvanzata msejja "prodott terapewtiku ta' gene". Din hija tip ta' medicina li taħdem billi tittrasferixxi ġeni fil-ġisem.

Upstaza fih eladocagene exuparvovec, verżjoni funzjonali tal-ġene AADC fi ħdan virus modifikat (vettur virali assoċjat ma' adeno). Il-virus użat f'din il-medicina mhux magħruf li jikkawża marda fil-bnedmin.

Kif jintuża Upstaza?

Upstaza jista' jinkiseb biss b'ricetta ta' tabib u għandu jingħata f'kamra tal-operazzjonijiet taħt il-loppju minn tabib b'esperjenza fil-kirurgija tal-moħħ. Jingħata permezz ta' infużjoni fil-moħħ. Wara l-infużjoni, il-pazjent ikollu skenn tal-moħħ. It-tabib se jimmonitorja l-irkupru u jiċċekkja għal kwalunkwe effett sekondarju mill-kirurgija u l-kura.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Upstaza, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Kif jaħdem Upstaza?

Id-defiċjenza tal-AADC hija kkawżata minn mutazzjonijiet fil-ġene li tipproduċi l-enzima AADC. Din l-enzima hija meħtieġa biex tipproduċi d-dopamina, newrotrażmettitur li huwa importanti għall-kontroll tal-moviment. Pazjenti b'defiċjenza AADC ma jkollhomx verżjoni li taħdem sew tal-enzima, u dan jirriżulta fi ftit li xejn produzzjoni jew l-ebda produzzjoni ta' dopamina fil-moħħ. Il-medicina tikkonsisti

Official address Domenico Scarlatilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



minn virus li fih verżjoni li taħdem tal-gene AADC. Meta jingħata lill-pazjent, huwa mistenni li l-virus iġorr il-gene AADC fiċ-ċelloli tan-nervituri, biex b'hekk ikunu jistgħu jipproduċu l-enzima nieqsa. Dan imbagħad huwa mistenni li jippermetti liċ-ċelloli jipproduċu d-dopamina li jeħtieġu biex jaħdmu kif suppost, u b'hekk itejbu s-sintomi tal-kundizzjoni.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Upstaza li ħarġu mill-istudji?

Il-benefiċċji ta' Upstaza ntwerew fi tliet studji ewlenin li kienu jinvolvu 28 tifel u tifla li kellhom bejn 1.5 u 8.5 snin b'defiċjenza severa tal-AADC ikkonfermata b'test ġenetiku. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-kontroll tar-ras u l-kapaċità li wieħed joqgħod bilqiegħda mingħajr għajjnuna. L-istudji wrew li madwar 70 % (14 minn 20) tal-pazjenti setgħu jikkontrollaw il-moviment tar-ras u madwar 65 % (12 minn 20) tal-pazjenti setgħu joqogħdu bilqiegħda mingħajr għajjnuna sentejn wara l-kura. Id-*data* mill-letteratura xjentifika wriet li l-pazjenti b'defiċjenza severa tal-AADC li ma kienu rċewew l-ebda kura ma setgħux jilħqu dawn l-istadji importanti tal-iżvilupp.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Upstaza?

L-effett sekondarju l-aktar komuni b'Upstaza (li jista' jaffettwa aktar minn persuna 1 minn kull 10) huwa diskineżja (movimenti inkontrollabbli).

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Upstaza, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Upstaza ġie awtorizzat fl-UE?

Tliet studji ewlenin urew li Upstaza huwa effettiv biex itejjeb l-abbiltà li wieħed jikkontrolla l-moviment tar-ras u biex joqgħod bilqiegħda f'pazjenti b'defiċjenza tal-AADC. Minhabba li d-defiċjenza tal-AADC hija marda rari ħafna, l-istudju kien żgħir iżda d-*data* disponibbli fuq perjodu ta' żmien qasir indikat li Upstaza jista' jkun effettiv biex jintlaħqu stadji importanti tal-iżvilupp fit-tfal. Għalkemm id-*data* dwar is-sigurtà ta' Upstaza hija limitata, l-effetti sekondarji li dehru sal-lum huma kkunsidrati maniġġabbli. L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Upstaza huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE, anki f'adulti b'defiċjenza tal-AADC, minhabba l-gravità tal-kundizzjoni u n-nuqqas ta' kuri eżistenti.

Upstaza ġie awtorizzat taħt "ċirkostanzi ta' eċċezzjoni". Dan ifisser li, minhabba li l-indikazzjoni hija daqshekk rari, ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni sħiħa dwar il-mediċina. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini sejra tirrieżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u din il-ħarsa generali tiġi aġġornata kif meħtieġ.

Liema informazzjoni għadha mistennija għal Upstaza?

Minhabba li Upstaza ġie awtorizzat taħt ċirkostanzi ta' eċċezzjoni, il-kumpanija li tqiegħed Upstaza fis-suq se tipprovdi *data* addizzjonali minn studji li għadhom għaddejjin u twettaq studju ġdid biex tiġi kkaratterizzata aktar is-sigurtà u l-effikaċja fit-tul ta' Upstaza.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Upstaza?

Il-kumpanija li tqiegħed Upstaza fis-suq għandha tiżgura li l-isptarijiet fejn jingħata Upstaza jkollhom għarfien espert, faċilitajiet u taħriġ xieraq.

Il-kumpanija għandha tipprovdi materjal edukattiv għall-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u għall-pazjenti dwar il-proċedura kirurġika u l-effetti sekondarji possibbli.

Il-kumpanija għandha ttipprovdi wkoll *data* addizzjonali biex turi aktar li Upstaza huwa mmanifatturat b'mod konsistenti bl-istess standards ta' kwalità.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Upstaza.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Upstaza hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Upstaza huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex ttiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Upstaza

Aktar informazzjoni dwar Upstaza tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/upstaza.