



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Firdapse¹ amifampridine

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Firdapse. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van Firdapse vast te stellen.

Wat is Firdapse?

Firdapse is een geneesmiddel dat de werkzame stof amifampridine bevat. Het is verkrijgbaar in de vorm van tabletten (10 mg).

Wanneer wordt Firdapse voorgeschreven?

Firdapse wordt gebruikt voor de behandeling van de symptomen van het Lambert-Eaton myastheen syndroom (LEMS) bij volwassenen. LEMS is een aandoening waarbij patiënten aan spierzwakte lijden doordat elektrische impulsen niet door de zenuwen aan de spieren worden doorgegeven.

Aangezien het aantal patiënten met LEMS klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd, en werd Firdapse op 18 december 2002 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

Hoe wordt Firdapse gebruikt?

De behandeling met Firdapse moet worden gestart onder toezicht van een arts met ervaring in het behandelen van LEMS.

De aanbevolen startdosis is 15 mg per dag; deze dosis kan om de vier tot vijf dagen in stappen van 5 mg worden verhoogd, tot een maximum van 60 mg per dag is bereikt. Firdapse wordt verdeeld over de dag drie- of viermaal ingenomen. Per inname mag de dosis niet hoger zijn dan 20 mg en het middel moet bij de maaltijd worden ingenomen.

¹ Voorheen bekend onder de naam Zenas.



Hoe werkt Firdapse?

Zenuwen geven met behulp van acetylcholine (een chemische 'boodschapper') elektrische impulsen door aan de spieren, zodat deze zich kunnen samentrekken. De zenuwuiteinden geven acetylcholine af tijdens een 'depolarisatieperiode'.

De werkzame stof van Firdapse, amifampridine, blokkeert kaliumkanalen, waardoor voorkomen wordt dat geladen kaliumdeeltjes uit de zenuwcellen stromen. Het gevolg is dat de depolarisatieperiode wordt verlengd, waardoor de zenuwen meer tijd hebben om acetylcholine af te geven, zodat de spieren worden geprikkeld zich samen te trekken.

Hoe is Firdapse onderzocht?

Omdat geneesmiddelen die amifampridine bevatten al meer dan 20 jaar in de EU worden gebruikt, heeft de firma de resultaten van studies over deze stof uit de wetenschappelijke literatuur overgelegd ter ondersteuning van het gebruik van Firdapse. In twee gepubliceerde studies, waaraan 38 volwassenen met LEMS deelnamen, werd amifampridine vergeleken met placebo (een schijnbehandeling). De voornaamste graadmeters voor de werkzaamheid waren gebaseerd op de beoordeling van het functioneren van spieren aan de hand van een scoresysteem. Daarbij werd gebruik gemaakt van de NDS-score of de QMG-score. De spieren van patiënten met een lagere NDS- of QMG-score functioneren beter. In een andere studie werden gegevens uit de twee gepubliceerde studies gecombineerd en werd gekeken naar de som van alle spieractiepotaentialen (compound muscle action potential - CMAP). CMAP is een graadmeter voor elektrische activiteit in spieren. Daarnaast werd de invloed van Firdapse op het QT-interval (de elektrische activiteit van de hartspier) onderzocht.

Welke voordelen bleek Firdapse tijdens de studies te hebben?

Firdapse was werkzaam dan placebo voor de behandeling van patiënten met LEMS. In de ene studie daalde de NDS-score van 40 naar 22 punten bij patiënten die Firdapse innamen, terwijl de score in de placebogroep daalde naar 35 punten. In de andere studie daalde de QMG-score 2 punten bij patiënten die Firdapse kregen. In de placebogroep steeg deze score met 0,25 punten. In de derde, gecombineerde studie gingen patiënten die Firdapse gebruikten beter vooruit wat betreft de CMAP dan patiënten die een schijnbehandeling kregen. De QT-studie liet zien – via de elektrocardiogrammen van gezonde vrijwilligers die aan deze studie deelnamen – dat amifampridine geen invloed heeft op de hartactiviteit. **Welke risico's houdt het gebruik van Firdapse in?**

De meest voorkomende bijwerkingen van Firdapse zijn paresthesieën (ongewone gewaarwordingen, bijvoorbeeld een gevoel van speldenprikken) en maag-darmstoornissen zoals pijn in het bovengedeelte van de maag, diarree, misselijkheid en buikpijn.

Firdapse mag niet worden gebruikt bij patiënten die epilepsie hebben, noch bij patiënten met astma dat niet onder controle is of met een aangeboren QT-syndroom (verstoorde hartslag). Het mag evenmin gelijktijdig worden gebruikt met sultopride (een middel dat gebruikt wordt bij de behandeling van psychoses), of geneesmiddelen waarvan bekend is dat ze QTc-verlenging kunnen veroorzaken (een verandering in de elektrische activiteit van het hart). Het mag ook niet gelijktijdig worden gebruikt met geneesmiddelen met een smal therapeutisch venster. Een geneesmiddel met een smal therapeutisch venster kan gemakkelijk bijwerkingen veroorzaken als de toegediende dosis een klein beetje hoger is dan de aanbevolen dosis.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen en de beschrijving van de beperkende voorwaarden voor Firdapse.

Waarom is Firdapse goedgekeurd?

Het CHMP heeft geconcludeerd dat de voordelen van Firdapse groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van dit middel.

Firdapse is goedgekeurd "onder uitzonderlijke omstandigheden". Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Firdapse te krijgen. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal ieder jaar eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Firdapse?

De firma die Firdapse vervaardigt, zal nadere gegevens overleggen uit onderzoek naar kanker met behulp van proefmodellen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Firdapse te waarborgen?

Om een zo veilig mogelijk gebruik van Firdapse te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter van Firdapse veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

De firma die Firdapse in de handel brengt, is verzocht ook een register in te stellen voor patiënten met LEMS. Ook zal de firma ervoor zorgen dat alle professionele zorgverleners die Firdapse naar verwachting zullen toedienen, een informatiepakket krijgen dat hen leert hoe gegevens van hun patiënten in het register in te voeren.

Overige informatie over Firdapse

De Europese Commissie heeft op 23 december 2009 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Zenas verleend. Op 28 januari 2010 werd de naam van het geneesmiddel veranderd in Firdapse.

Het volledige EPAR voor Firdapse is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Firdapse.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Firdapse is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: : ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 04-2014.