

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Naglazyme

galsulfase

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Naglazyme. 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 Naglazyme vast te stellen.

Wat is Naglazyme?

Naglazyme is een oplossing voor infusie (langzame indruppeling in een ader) die de werkzame stof galsulfase (1 mg/ml) bevat.

Wanneer wordt Naglazyme voorgeschreven?

Naglazyme wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met mucopolysaccharidose VI (MPS VI of syndroom van Maroteaux-Lamy). Deze ziekte ontstaat door een gebrek aan het enzym N-acetylgalactosamine 4-sulfatase, dat nodig is voor het afbreken van bepaalde stoffen in het lichaam (glycosaminoglycanen (GAG's)). Als het enzym niet aanwezig is, kunnen GAG's niet worden afgebroken en dan stapelen ze zich op in de cellen. Dit veroorzaakt de typische verschijnselen van de aandoening; de meest waarneembare zijn een kort lichaam, groot hoofd, en moeizame bewegingen. De diagnose voor deze aandoening wordt gewoonlijk gesteld bij kinderen tussen 1 en 5 jaar oud.

Aangezien het aantal MPS VI-patiënten klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd, en werd Naglazyme op 14 februari 2001 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten).

Het middel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

Hoe wordt Naglazyme gebruikt?

Een behandeling met Naglazyme moet plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met MPS VI of soortgelijke ziektes. Naglazyme dient te worden toegediend in een setting waar in geval van nood reanimatieapparatuur binnen handbereik is.

Naglazyme wordt eenmaal per week toegediend per infusie van 4 uur. De aanbevolen dosis is 1 mg per kilo lichaamsgewicht. Vóór elke infusie moeten patiënten een antihistaminicum krijgen om mogelijke allergische reacties te temperen. Patiënten kunnen ook een koortswerend middel krijgen.

Hoe werkt Naglazyme?

Naglazyme is een enzymsubstitutietherapie, dat wil zeggen dat patiënten het hun ontbrekende enzym krijgen toegediend. De werkzame stof in Naglazyme, galsulfase, is een kopie van het menselijke enzym N-acetylgalactosamine 4-sulfatase. Naglazyme helpt de GAG's af te breken en houdt ophoping ervan in de cellen tegen. Dit kan verbetering van de symptomen van MPS-VI tot gevolg hebben, onder meer verbetering van de mobiliteit van de patiënten.

Galsulfase wordt vervaardigd met behulp van een methode die bekend staat als 'recombinant-DNA-techniek' en wel door een cel waarin een gen (DNA) is ingebracht, zodat dit enzym kan worden aangemaakt.

Hoe is Naglazyme onderzocht?

Naglazyme is vergeleken met placebo (een schijnbehandeling) in een hoofdonderzoek waaraan 39 patiënten met MPS VI tussen de 5 en 29 jaar deelnamen. De voornaamste maatstaf voor de werkzaamheid was de afstand die patiënten na 24 weken behandeling lopend konden afleggen.

Welke voordelen bleek Naglazyme tijdens de studies te hebben?

Naglazyme was werkzamer dan placebo. Na 24 weken konden met Naglazyme behandelde patiënten in 12 minuten gemiddeld 109 meter verder lopen; patiënten die placebo hadden gekregen, liepen gemiddeld maar 18 meter verder.

Welke risico's houdt het gebruik van Naglazyme in?

In onderzoeken waren de meest frequent voorkomende bijwerkingen van Naglazyme (waargenomen bij meer dan 1 op 10 patiënten) oorspijn, dyspnoe (moeizame ademhaling), buikpijn en pijn. Patiënten kunnen ook reacties op de infusie vertonen (zoals koorts, koude rillingen, huiduitslag en galbulten). Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Naglazyme.

Naglazyme mag niet gebruikt worden bij mensen die mogelijk overgevoelig (allergisch) zijn voor galsulfase of voor enig ander bestanddeel van het middel.

Waarom is Naglazyme goedgekeurd?

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

Het Comité merkte op dat het, hoewel aan het hoofdonderzoek van Naglazyme geen patiënten jonger dan 5 jaar deelnamen, belangrijk is dat deze patiënten worden behandeld in het geval van een ernstige vorm van MPS VI.

Naglazyme is goedgekeurd onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het niet mogelijk was volledige informatie over Naglazyme te krijgen, daar de ziekte weinig voorkomt. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Naglazyme?

Het bedrijf dat Naglazyme produceert, voert onderzoeken uit ter bestudering van het veilig en doeltreffend gebruik van Naglazyme op de lange termijn bij vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven en bij kinderen jonger dan 5 jaar om na te gaan of deze patiënten er antilichamen tegen produceren (d.w.z. eiwitten die het lichaam aanmaakt als reactie op Naglazyme, die de respons op de behandeling kunnen beïnvloeden), en welke bijwerkingen het middel heeft. Het voert ook onderzoeken uit om de optimale dosis vast te stellen voor een langetermijnbehandeling van patiënten op regelmatige basis.

Overige informatie over Naglazyme:

De Europese Commissie heeft op 24 januari 2006 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Naglazyme verleend aan Biomarin Europe Limited. Deze vergunning is geldig voor onbepaalde duur.

Zie voor de samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen inzake Naglazyme de website van het Geneesmiddelenbureau onder: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation)

Zie voor het volledige EPAR voor Naglazyme de website van het Geneesmiddelenbureau onder: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://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, als u meer informatie nodig hebt over de behandeling met Naglazyme.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 12-2010.