



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Firdapse¹ amifamprydyna

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego produktu Firdapse. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Firdapse do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania leku.

Co to jest Firdapse?

Produkt Firdapse jest lekiem, który zawiera substancję czynną amifamprydynę. Lek jest dostępny w postaci tabletek (10 mg).

W jakim celu stosuje się produkt Firdapse?

Produkt Firdapse stosuje się w objawowym leczeniu zespołu miastenicznego Lamberta-Eatona (ang. Lambert-Eaton myasthenic syndrom, LEMS) u osób dorosłych. LEMS to choroba, w której dochodzi do osłabienia siły mięśniowej z powodu zaburzenia przewodzenia impulsów elektrycznych przez nerwy do mięśni.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z LEMS choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 18 grudnia 2002 r. produkt Firdapse uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Jak stosować produkt Firdapse?

Leczenie produktem Firdapse należy rozpoczynać wyłącznie pod nadzorem lekarza mającego doświadczenie w leczeniu LEMS.

¹ Previously known as Zenas.



Zalecana dawka początkowa produktu Firdapse wynosi 15 mg na dobę, a następnie można ją zwiększać o 5 mg co 4-5 dni do dawki maksymalnej 60 mg na dobę. Produkt Firdapse przyjmuje się w podzielonych dawkach, 3 lub 4 razy na dobę, a pojedyncza dawka nie powinna przekraczać 20 mg. Firdapse należy przyjmować podczas posiłku.

Jak działa produkt Firdapse?

Aby doszło do skurczu mięśni, muszą do nich dotrzeć impulsy elektryczne przekazywane przez nerwy za pośrednictwem neuroprzekaźnika chemicznego o nazwie acetylocholina. Acetylocholina jest uwalniana z zakończeń nerwowych podczas okresu depolaryzacji.

Substancja czynna leku Firdapse, amifamprydyna, jest blokerem kanałów potasowych zapobiegającym wypływowi jonów potasowych z komórek nerwowych. Wydłuża on okres depolaryzacji, co daje nerwom więcej czasu na uwolnienie acetylocholiny, aby pobudzić mięśnie do skurczu.

Jak badano produkt Firdapse?

Ponieważ leki zawierające amifamprydynę są od przeszło 20 lat stosowane w UE, na poparcie stosowania produktu Firdapse firma przedstawiła wyniki badań dotyczące amifamprydyny opublikowane w literaturze naukowej. W dwóch opublikowanych badaniach z łącznym udziałem 38 osób dorosłych z LEMS amifamidrynę porównywano z placebo. Głównym kryterium oceny skuteczności były wyniki pomiarów pracy mięśni za pomocą skal liczbowych, takich jak skala NDS (skala oceny upośledzenia czynności nerwu) i skala QMG (skala ilościowej oceny miastonii). Pacjenci z niższymi wynikami w skali NDS lub QMG mieli lepszą funkcję mięśni. W innym badaniu połączono dane z dwóch opublikowanych badań i oceniono złożony potencjał czynnościowy mięśni (CMAP). CMAP jest miarą elektrycznej czynności mięśni. Ponadto badano wpływ produktu Firdapse na odstęp QT (aktywność elektryczna serca).

Jakie korzyści ze stosowania produktu Firdapse zaobserwowano w badaniach?

Produkt Firdapse był skuteczniejszy od placebo w leczeniu pacjentów z LEMS. W jednym z badań u pacjentów leczonych produktem Firdapse uzyskano zmniejszenie wyniku w skali NDS z 40 do 22 punktów, podczas gdy w grupie chorych przyjmujących placebo wynik ten zmniejszył się do 35 punktów. W drugim z badań wykazano obniżenie wyniku w skali QMG o 2 punkty u pacjentów leczonych produktem Firdapse, podczas gdy w grupie chorych przyjmujących placebo zaobserwowano wzrost wyniku w tej skali o 0,25 punktu. W trzecim złożonym badaniu u pacjentów przyjmujących produkt Firdapse uzyskano większą poprawę w CMAP niż u pacjentów przyjmujących placebo. W badaniu odstępu QT nie zaobserwowano wpływu amifamprydyny na czynność serca, jak wynikało z ekodiagramów zdrowych ochotników biorących udział w tym badaniu.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Firdapse?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem produktu Firdapse to: zaburzenia czucia (nieprawidłowe czucie, np. mrowienie i kłucie) i zaburzenia żołądkowo-jelitowe takie, jak bóle w nadbrzuchu (ból w górnej części brzucha), biegunka, nudności (mdłości) i bóle brzucha.

Produktu Firdapse nie wolno stosować u pacjentów z padaczką ani u pacjentów z niewyrównaną astmą oskrzelową lub wrodzonymi zespołami QT (zaburzenia rytmu serca). Produktu nie wolno stosować jednocześnie z sultoprydem (lek przeciwpsychotyczny) ani lekami, o których wiadomo, że powodują wydłużenie odstępu QTc (zmiana aktywności elektrycznej serca). Produktu nie wolno również stosować

z lekami o wąskim indeksie terapeutycznym. Lek o wąskim indeksie terapeutycznym może łatwo wywołać działania niepożądane, jeśli jest podany w dawce niewiele przekraczającej zalecaną dawkę.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem produktu Firdapse znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdzono produkt Firdapse?

CHMP uznał, że korzyści ze stosowania produktu Firdapse przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu.

Produkt Firdapse dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Oznacza to, że z uwagi na rzadkie występowanie choroby nie można było uzyskać pełnych informacji o produkcie Firdapse. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych dostępnych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze sprawozdanie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Firdapse?

Firma produkująca lek Firdapse dostarczy dodatkowe dane pochodzące z badań nowotworów złośliwych w modelach eksperymentalnych.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Firdapse?

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu Firdapse opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących produktu Firdapse zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Ponadto od firmy wytwarzającej produkt Firdapse wymaga się ustanowienia rejestru pacjentów z LEMS. Firma dopilnuje, aby wszyscy pracownicy służby zdrowia, którzy mają podawać lek, otrzymali materiały szkoleniowe objaśniające sposób umieszczania pacjentów w rejestrze.

Inne informacje dotyczące produktu Firdapse:

W dniu 23 grudnia 2009 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie leku Zenas do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej. W dniu 23 grudnia 2010 r. nazwę leku zmieniono na Firdapse.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku Firdapse znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Firdapse należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Firdapse znajduje się a stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Data ostatniej aktualizacji: 04.2014.