



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Naglazyme

galsulfaza

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

Co to jest Naglazyme?

Naglazyme to roztwór do infuzji (wlewu dożylnego) zawierający substancję czynną galsulfazę (1 mg/ml).

W jakim celu stosuje się Naglazyme?

Preparat Naglazyme stosuje się w leczeniu pacjentów z mukopolisacharydozą typu VI (MPS VI czyli zespół Maroteaux-Lamy'ego). Chorobę wywołuje brak enzymu zwanego 4-sulfatazą N-acetylogalaktozaminą, niezbędnego do rozkładu substancji w organizmie zwanych glikozaminoglikanami (GAG). Jeśli enzym nie występuje, GAG nie mogą zostać rozłożone i odkładają się w komórkach. Wywołuje to objawy choroby, z których najbardziej zauważalne są niskorosłość, wielkogłowie i trudności w poruszaniu. Choroba jest zazwyczaj diagnozowana u małych dzieci pomiędzy 1. a 5. rokiem życia.

Z powodu małej liczby pacjentów z MOS VI chorobę uważa się za rzadką, dlatego też w dniu 14 lutego 2001 r. preparat Naglazyme oznaczono jako lek sierocy (lek stosowany w leczeniu rzadkich chorób).

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.



Jak stosuje się Naglazyme?

Leczenie preparatem Naglazyme powinien nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z MPS VI lub podobnymi chorobami. Preparat należy podawać wyłącznie wtedy, gdy dostępny jest sprzęt do reanimacji w razie konieczności pilnej pomocy medycznej.

Preparat Naglazyme podaje się jako wlew 4-godzinny raz w tygodniu. Zalecana dawka wynosi 1 mg na kg masy ciała. Przed każdym wlewem pacjentom należy podać antyhistaminę w celu ograniczenia ryzyka reakcji alergicznej. Pacjentom można również podać lek przeciwgorączkowy.

Jak działa Naglazyme?

Terapia Naglazyme to substytucja enzymatyczna. Enzymatyczna terapia zastępcza dostarcza pacjentom brakujący enzym. Substancja czynna preparatu Naglazyme, galsulfaza, jest kopią ludzkiego enzymu 4-sulfatazy N-acetylogalaktozaminy. Preparat Naglazyme pomaga rozkładać GAG i zatrzymywać ich odkładanie w komórkach. Może to zmniejszyć objawy MPS VI, w tym zwiększyć możliwość poruszania się pacjentów.

Galsulfazę wytwarza się metodą znaną jako „technologia rekombinacji DNA”: jest ona wytwarzana przez komórkę, która otrzymała odpowiedni gen (DNA) umożliwiający jej wytwarzanie enzymu.

Jak badano preparat Naglazyme?

Preparat Naglazyme porównywano z placebo (leczenie obojętne) w jednym badaniu głównym z udziałem 39 pacjentów z MPS VI w wieku 5-29 lat. Głównym kryterium oceny skuteczności była odległość, jaką pacjenci mogli pokonać po 24 tygodniach leczenia.

Jakie korzyści ze stosowania preparatu Naglazyme zaobserwowano w badaniach?

Preparat Naglazyme był skuteczniejszy niż placebo: po 24 tygodniach przeciętna odległość przebyta w ciągu 12 minut wzrosła o 109 metrów w grupie pacjentów leczonych preparatem Naglazyme i o 18 metrów w grupie otrzymującej placebo.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem preparatu Naglazyme?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem preparatu Naglazyme występujące w badaniach (obserwowane u więcej niż 1 pacjenta na 10) to: bóle ucha, duszności (trudności w oddychaniu), ból brzucha i ból ogólnie. U pacjentów mogą także występować reakcje na wlew (takie jak: gorączka, dreszcze, wysypka i pokrzywka). Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem preparatu Naglazyme znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Preparatu Naglazyme nie należy stosować u osób z nadwrażliwością (alergią) na galsulfazę lub którykolwiek składnik leku.

Na jakiej podstawie zatwierdzono preparat Naglazyme?

CHMP uznał, że korzyści płynące ze stosowania preparatu Naglazyme przewyższają ryzyko i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie preparatu do obrotu.

Komitet zauważył, że choć badanie główne nad preparatem Naglazyme nie obejmowało pacjentów poniżej 5. roku życia, ważne jest, aby zostali oni objęci leczeniem w przypadku cięższej postaci MPS VI.

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

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat preparatu Naglazyme?

Firma produkująca preparat Naglazyme prowadzi badania długoterminowego bezpieczeństwa stosowania i skuteczności preparatu Naglazyme u kobiet ciężarnych i karmiących piersią oraz u dzieci w wieku poniżej 5 lat, w celu obserwacji, czy w tych grupach pacjentów rozwiną się przeciwciała (białka wytwarzane w organizmie w odpowiedzi na preparat Naglazyme, które mogą wpłynąć na odpowiedź na leczenie) oraz w celu analizy działań niepożądanych leku. Firma prowadzi także badania w celu określenia optymalnej dawki dla pacjentów poddawanych regularnemu, długotrwałemu leczeniu.

Inne informacje dotyczące preparatu Naglazyme

W dniu 24 stycznia 2006 r. Komisja Europejska przyznała firmie BioMarin Europe Limited pozwolenie na dopuszczenie preparatu Naglazyme do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej. Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu przyznano na czas nieokreślony.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Leków Sierocych dotyczące preparatu Naglazyme znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące preparatu Naglazyme 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 preparatem Naglazyme należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także częścią EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 12-2010.