



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/109796/2014
EMA/H/C/002779

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Vimizim

elosulfaza alfa

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Vimizim. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Vimizim.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Vimizim należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Vimizim i w jakim celu się go stosuje?

Produkt Vimizim to lek zawierający substancję czynną elosulfazę alfa. Jest on stosowany w leczeniu pacjentów z mukopolisacharydozą typu IVA (MPS IVA, znaną również jako zespół Morquio A). Choroba ta jest spowodowana brakiem enzymu o nazwie 6-sulfataza N-acetylogalaktozaminy, który jest niezbędny do rozkładu substancji zwanych glikozoaminoglikanami (GAG). W przypadku braku enzymu lub gdy występuje on tylko w bardzo małych ilościach, glikozoaminoglikany nie mogą zostać rozłożone i gromadzą się w kościach i narządach. Powoduje to wystąpienie oznak choroby, z których najbardziej zauważalne to krótkie kości, trudności z poruszaniem się i oddychaniem, zmętnienie oka i utrata słuchu.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z MPS IVA choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 24 lipca 2009 r. produkt Vimizim uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Jak stosować produkt Vimizim?

Leczenie z użyciem produktu Vimizim powinno być nadzorowane przez lekarza mającego doświadczenie w leczeniu MPS IVA lub podobnych chorób. Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza i powinien on być podawany wyłącznie przez odpowiednio przeszkolony personel medyczny.

Lek Vimizim jest dostępny w postaci koncentratu, z którego sporządza się roztwór do infuzji (podawany dożylnie za pomocą kroplówki). Zalecana dawka leku to 2 mg/kg masy ciała raz na tydzień. Infuzja powinna trwać około 4 godzin. Przed podaniem produktu Vimizim pacjentowi należy podać lek

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu Website www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



zapobiegający reakcji alergicznej na ten produkt. Pacjentom można również podawać leki zapobiegające gorączce.

Jak działa produkt Vimizim?

Produkt Vimizim jest enzymatyczną terapią zastępczą. Enzymatyczna terapia zastępcza polega na podawaniu pacjentom enzymu, którego im brak. Substancja czynna leku Vimizim, elosulfaza alfa, jest kopią naturalnego ludzkiego enzymu o nazwie 6-sulfataza N-acetylogalaktozaminy. Enzym zastępczy pomaga w rozkładzie GAG i zatrzymuje ich gromadzenie się w komórkach, łagodząc objawy MPS IVA.

Elosulfaza alfa jest produkowana metodą znaną jako „technika rekombinacji DNA”. Jest ona wytwarzana w komórkach, do których wprowadzono gen (DNA) umożliwiający produkcję tego enzymu.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Vimizim zaobserwowano w badaniach?

Lek Vimizim badano w jednym badaniu głównym z udziałem 176 pacjentów z MPS IVA, w którym porównano go z placebo (leczeniem pozorowanym). Główną miarą skuteczności działania leku była zmiana odległości, którą pacjenci byli w stanie przejść w ciągu sześciu minut po 6 miesiącach leczenia.

Przed rozpoczęciem leczenia pacjenci byli w stanie przejść średnio nieco ponad 200 metrów w ciągu sześciu minut. Po 6 miesiącach pacjenci otrzymujący zalecaną dawkę leku Vimizim w ciągu sześciu minut byli w stanie przejść średnio o 37 metrów więcej, a pacjenci otrzymujących placebo — o 14 metrów więcej. Wyniki badania wskazywały również, że lek zwiększył u pacjentów łatwość oddychania i wchodzenia po schodach, a także przyspieszył wzrost u dzieci.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Vimizim?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Vimizim (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 10 osób) to: reakcje związane z infuzją, w tym ból głowy, nudności (mdłości), wymioty, gorączka, dreszcze i ból brzucha (żołądka). Działania te mają z reguły nasilenie łagodne lub umiarkowane i częściej występują w pierwszych 12 tygodniach leczenia. Poważne, ale niezbyt częste reakcje związane z infuzją obejmują anafilaksję (ciężką reakcję alergiczną). Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Vimizim znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Vimizim nie należy stosować u pacjentów, u których wystąpiły zagrażające życiu reakcje alergiczne na elosulfazę alfa lub którykolwiek składnik produktu.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Vimizim?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Vimizim przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE. CHMP stwierdził, że po 6 miesiącach leczenia wykazano skuteczność leku Vimizim w zakresie zwiększania odległości, którą pacjenci byli w stanie przejść w ciągu sześciu minut, czemu towarzyszyły inne korzyści, w tym zwiększenie zdolności do wykonywania codziennych czynności. Komitet uznał również, że profil bezpieczeństwa stosowania leku Vimizim wydaje się możliwy do kontrolowania, a poważne działania niepożądane są niezbyt częste. Należy jednak zgromadzić więcej długoterminowych danych dotyczących bezpieczeństwa.

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

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

Dodatkowo firma wytwarzająca produkt Vimizim musi zapewnić wszystkim członkom personelu medycznego, którzy mają przepisywać lub stosować lek, materiały edukacyjne zawierające informacje na temat jego prawidłowego stosowania i ryzyka wystąpienia ciężkich reakcji alergicznych. Firma będzie również prowadzić rejestr w celu oceny długoterminowych korzyści i ryzyka związanego ze stosowaniem produktu Vimizim.

Więcej informacji znajduje się w [streszczeniu planu zarządzania ryzykiem](#).

Inne informacje dotyczące produktu Vimizim:

W dniu 28 kwietnia 2014 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Vimizim do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR i streszczenie planu zarządzania ryzykiem dotyczące produktu Vimizim znajdują 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 Vimizim 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 Vimizim znajduje się na 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.