



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Naglazyme

galsulfase

Este documento é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Naglazyme. O seu objectivo é explicar o modo como o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) avaliou o medicamento a fim de emitir um parecer favorável à concessão de uma autorização de introdução no mercado, bem como as suas recomendações sobre as condições de utilização do Naglazyme.

O que é o Naglazyme?

O Naglazyme é uma solução para perfusão (administração gota-a-gota numa veia) que contém a substância activa galsulfase (1 mg/ml).

Para que é utilizado o Naglazyme?

O Naglazyme é utilizado para o tratamento de doentes com mucopolissacaridose VI (MPS VI ou síndrome de Maroteaux-Lamy). Esta doença é causada pela falta de uma enzima denominada n-acetilgalactosamina-4-sulfatase, necessária à degradação de substâncias no organismo conhecidas como glicosaminoglicanos (GAG). Quando a enzima não está presente, os GAG não podem ser degradados e acumulam-se nas células. Isto causa os sinais da doença, sendo os mais evidentes tronco curto, cabeça grande e dificuldades de movimentação. A doença é habitualmente diagnosticada em crianças de um 1 a 5 anos de idade.

Dado o número de doentes afectados por esta doença ser reduzido, esta doença é considerada “rara”, pelo que o Naglazyme foi designado “medicamento órfão” (medicamento utilizado em doenças raras) em 14 de Fevereiro de 2001.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.



Como se utiliza o Naglazyme?

O tratamento com Naglazyme deve ser acompanhado por um médico com experiência no tratamento de doentes com MPS VI ou doenças similares. O Naglazyme deve ser administrado em infra-estruturas que disponham de equipamento de reanimação em caso de emergência médica.

O Naglazyme é administrado na forma de uma perfusão de 4 horas, uma vez por semana. A dose recomendada é de 1 mg por quilograma de peso corporal. Antes de cada perfusão, os doentes devem receber um anti-histamínico para reduzir o risco de qualquer reacção alérgica. Os doentes podem ainda receber um medicamento para prevenir a febre.

Como funciona o Naglazyme?

O Naglazyme é uma terapêutica de substituição enzimática. A terapêutica de substituição enzimática permite restabelecer o nível de actividade enzimática do doente. A substância activa do Naglazyme, a galsulfase, é uma cópia da enzima humana n-acetilgalactosamina-4-sulfatase. O Naglazyme ajuda a degradar os GAG, impedindo a sua acumulação nas células, o que permite uma melhoria dos sintomas de MPS VI, incluindo a melhoria da capacidade de movimentação dos doentes.

O Galsulfase é produzido por meio de um método denominado "tecnologia de ADN recombinante": é produzida por uma célula que recebeu um gene (ADN) que a torna capaz de produzir a substância.

Como foi estudado o Naglazyme?

O Naglazyme foi comparado com um placebo (um tratamento simulado) num estudo principal que incluiu 39 doentes com MPS VI, com idades compreendidas entre os cinco e os 29 anos. O principal parâmetro de eficácia foi a distância que os doentes conseguiam percorrer após 24 semanas de tratamento.

Qual o benefício demonstrado pelo Naglazyme durante os estudos?

O Naglazyme foi mais eficaz do que o placebo. Após 24 semanas de tratamento, a distância média que conseguiam percorrer em 12 minutos aumentou em 109 metros nos doentes tratados com o Naglazyme e em 18 metros nos doentes que receberam placebo.

Qual é o risco associado ao Naglazyme?

Nos estudos realizados, os efeitos secundários mais frequentes associados ao Naglazyme (observados em mais de 1 em cada 10 doentes) foram dores de ouvidos, dispneia (dificuldade em respirar), dores abdominais (dores de barriga) e dor generalizada. Os doentes podem também registar reacções à perfusão (tais como febre, arrepios, erupção cutânea e urticária). Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Naglazyme, consulte o Folheto Informativo.

O Naglazyme não deve ser utilizado em pessoas que possam ser hipersensíveis (alérgicas) à galsulfase ou a qualquer outro componente do medicamento.

Por que foi aprovado o Naglazyme?

O CHMP concluiu que os benefícios do Naglazyme são superiores aos seus riscos e recomendou a concessão de uma autorização de introdução no mercado para o medicamento.

O Comité fez notar que, embora os doentes com menos de cinco anos não tenham sido incluídos no estudo principal relativo ao Naglazyme, é importante que sejam tratados se sofrerem de uma forma grave de MPS VI.

O Naglazyme foi autorizado em "Circunstâncias Excepcionais". Isto significa que, tratando-se de uma doença rara, não foi possível obter informações completas sobre o Naglazyme. A Agência Europeia de Medicamentos (EMA) procederá, anualmente, à análise das novas informações eventualmente disponíveis e, se for caso disso, à actualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre o Naglazyme?

A empresa que fabrica o Naglazyme está a realizar estudos para avaliar a segurança e a eficácia do Naglazyme a longo prazo em mulheres grávidas ou a amamentar e em crianças com menos de cinco anos, para monitorizar se os doentes desenvolvem anticorpos (proteínas que são produzidas pelo organismo em resposta ao Naglazyme que podem afectar a resposta ao tratamento), bem como para analisar os efeitos secundários do medicamento. A empresa está igualmente a realizar estudos para determinar a dose mais adequada que deve ser administrada aos doentes numa base regular e de longo prazo.

Outras informações sobre o Naglazyme

Em 24 de Janeiro de 2006, a Comissão Europeia concedeu à BioMarin Europe Limited uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Naglazyme. A Autorização de Introdução no Mercado é válida por um período de tempo ilimitado.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Naglazyme encontra-se disponível no sítio Web da Agência em ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

O EPAR completo sobre o Naglazyme pode ser consultado no sítio web da EMA em ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Naglazyme, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Este resumo foi actualizado pela última vez em 12-2010.