



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/529536/2016
EMA/H/C/000700

Rezumat EPAR destinat publicului

Elaprase

idursulfază

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Elaprase. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de punere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Elaprase.

Ce este Elaprase?

Elaprase este un medicament care conține substanța activă idursulfază. Este disponibil sub formă de concentrat din care se prepară o soluție pentru perfuzie intravenoasă (picurare în venă).

Pentru ce se utilizează Elaprase?

Elaprase se utilizează pentru tratarea adulților cu sindrom Hunter. Este destinat utilizării pe termen lung.

Sindromul Hunter, numit și mucopolizaharidoză de tip II, este o boală ereditară rară care îi afectează în special pe pacienții de sex masculin. Pacienții cu sindrom Hunter nu produc o enzimă numită iduronat-2-sulfatază. Această enzimă este necesară pentru descompunerea substanțelor din organism numite glicozaminoglicani (GAG). Întrucât la pacienții care suferă de sindrom Hunter aceste substanțe nu se pot descompune, glicozaminoglicanii se acumulează progresiv în majoritatea organelor corpului, afectându-le. Aceasta duce la apariția unui spectru larg de simptome, în special respirație îngreunată și mers dificil. Dacă nu sunt tratate, aceste simptome se agravează cu timpul.

Din cauza numărului mic de pacienți cu sindrom Hunter, aceasta este considerată o boală „rară”, iar Elaprase a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 11 decembrie 2001.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală.



Cum se utilizează Elapraxe?

Tratamentul cu Elapraxe trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratarea pacienților cu sindrom Hunter sau cu alte boli metabolice ereditare.

Elapraxe se administrează săptămânal sub formă de perfuzie intravenoasă, în doză de 0,5 mg pe kilogram de greutate corporală. Perfuzia trebuie să dureze trei ore. Dacă pacientul nu manifestă reacții asociate cu perfuzia (erupții pe piele, mâncărime, febră, dureri de cap, tensiune arterială mare sau înroșirea feței), durata perfuziei poate fi redusă treptat la o oră.

Pacienții care tolerează bine perfuziile câteva luni într-o clinică, pot începe administrarea lor la domiciliu. Perfuziile la domiciliu trebuie supravegheate de un medic sau asistent medical.

Cum acționează Elapraxe?

Substanța activă din Elapraxe, idursulfaza, este o copie a enzimei umane iduronat-2-sulfatază. Idursulfaza înlocuiește enzima lipsă sau deficitară la pacienții cu sindrom Hunter. Furnizarea enzimei favorizează descompunerea glicozaminoglicanilor și împiedică acumularea lor în țesuturile organismului, ceea ce contribuie la ameliorarea simptomelor bolii.

Cum a fost studiat Elapraxe?

Elapraxe a fost evaluat într-un studiu principal care a cuprins 96 de pacienți de sex masculin cu vârste cuprinse între 5 și 31 de ani și în care a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv). Principalele măsuri ale eficacității au fost funcția pulmonară („capacitatea vitală forțată”, cantitatea maximă de aer pe care pacientul a putut să o expire) și distanța pe care pacienții au putut să o parcurgă mergând șase minute, ceea ce măsoară efectele combinate ale afecțiunii asupra inimii, plămânilor, articulațiilor și asupra altor organe. Măsurătorile s-au făcut la începutul studiului și după un an de tratament.

Ce beneficii a prezentat Elapraxe pe parcursul studiilor?

Elapraxe a îmbunătățit funcția pulmonară și capacitatea de mers a pacienților. Înainte de tratament, pacienții puteau merge în medie 395 de metri în șase minute. După un an, pacienții care au luat Elapraxe puteau merge 43 de metri în plus în medie, iar pacienții care au primit placebo 8 metri în plus. Medicamentul a dus, de asemenea, la ameliorarea funcției pulmonare, în timp ce pacienții care au luat placebo au prezentat o ușoară agravare.

Care sunt riscurile asociate cu Elapraxe?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Elapraxe sunt legate de perfuzare, incluzând reacții pe piele (erupții pe piele sau mâncărime), febră, dureri de cap, tensiune arterială mare și înroșirea feței. Alte reacții adverse observate la mai mult de 1 pacient din 10 sunt: respirație șuierătoare, dispnee (respirație dificilă), dureri abdominale (dureri de stomac), greață, dispepsie (arsuri la stomac), diaree, vărsături, umflături la locul perfuzării și dureri în piept. La unii pacienți tratați cu Elapraxe au apărut reacții alergice severe. Pentru lista completă a reacțiilor adverse raportate asociate cu Elapraxe, citiți prospectul.

Elapraxe este contraindicat la persoane care au avut în trecut o reacție alergică (anafilactică) severă sau potențial mortală la idursulfază sau la oricare dintre celelalte ingrediente dacă alergiile nu este ținută sub control. În cazul în care se administrează la pacienți care au avut în trecut reacții alergice severe, Elapraxe trebuie folosit cu precauție, iar în timpul perfuzării trebuie să fie disponibil personal instruit și echipamente de resuscitare.

De ce a fost aprobat Elaprase?

CHMP a concluzionat că ameliorările evidențiate în cadrul studiului, chiar dacă sunt limitate, reprezintă un beneficiu clinic în tratamentul sindromului Hunter. Comitetul a hotărât că beneficiile Elaprase sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de punere pe piață pentru acest produs.

Elaprase a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Elaprase. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va examina orice informație nou apărută, iar prezentul rezumat va fi actualizat, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Elaprase?

Compania care comercializează Elaprase va investiga efectele pe termen lung ale medicamentului, în special asupra plămânilor, inimii și a vaselor sangvine și dacă organismul produce anticorpi care pot afecta siguranța și eficacitatea medicamentului.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Elaprase?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Elaprase, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Alte informații despre Elaprase

Comisia Europeană a acordat o autorizație de punere pe piață pentru Elaprase, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 8 ianuarie 2007.

EPAR-ul complet pentru Elaprase este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Elaprase, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Elaprase este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 09-2016.