



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Firdapse¹ amifampridină

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

Ce este Firdapse?

Firdapse este un medicament care conține substanța activă amifampridină. Este disponibil sub formă de comprimate (10 mg).

Pentru ce se utilizează Firdapse?

Firdapse se utilizează pentru tratarea simptomelor sindromului miastenic Lambert-Eaton (SMLE) la adulți. SMLE este o afecțiune în care pacienții prezintă slăbiciune musculară din cauza incapacității nervilor de a transmite impulsuri electrice către mușchi.

Din cauza numărului mic de pacienți cu SMLE, boala este considerată „rară”, iar Firdapse a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 18 decembrie 2002.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Firdapse?

Tratamentul cu Firdapse trebuie inițiat doar sub supravegherea unui medic cu experiență în tratamentul SMLE.

Doza inițială recomandată de Firdapse este de 15 mg pe zi, doză care poate fi mărită cu 5 mg la fiecare patru-cinci zile până la maximum 60 mg pe zi. Firdapse se administrează în doze divizate, de

¹ Cunoscut anterior sub denumirea de Zenas.



trei sau patru ori pe zi și nicio doză individuală nu trebuie să depășească 20 mg. Firdapse trebuie luat cu alimente.

Cum acționează Firdapse?

Pentru ca mușchii să se contracte, nervii trebuie să transmită impulsuri electrice la mușchi printr-un mesager chimic numit acetilcolină. Acetilcolina este eliberată din terminațiile nervoase în cursul unei perioade de „depolarizare”.

Substanța activă din Firdapse, amifampridina, este un blocant al canalelor de potasiu, care împiedică particulele încărcate de potasiu să părăsească celulele nervoase. Aceasta prelungește perioada de depolarizare, permițând un timp mai mare de eliberare a acetilcolinei de către nervi pentru a stimula contracția musculară.

Cum a fost studiat Firdapse?

Deoarece medicamentele care conțin amifampridină se utilizează în Uniunea Europeană (UE) de peste 20 de ani, compania a prezentat rezultatele studiilor din literatura științifică referitoare la amifampridină pentru a susține utilizarea Firdapse. În două studii publicate la care au participat 38 de adulți cu SMLE, amifampridina a fost comparată cu placebo (un preparat inactiv). Principalii indicatori ai eficacității s-au bazat pe evaluarea gradului de funcționare a mușchilor utilizându-se un sistem de notare, fie scorul incapacității neurologice (NDS), fie scorul cantitativ al miasteniei grave (QMG). Pacienții cu scoruri NDS sau QMG mai mici prezintă o mai bună funcționare a mușchilor. Un alt studiu a combinat date din cele două studii publicate și a investigat potențialul de acțiune muscular compus (PAMC). PAMC este o măsură a activității electrice de la nivelul mușchilor. În plus, a fost investigat efectul Firdapse asupra intervalului QT (activitatea electrică a inimii).

Ce beneficii a prezentat Firdapse pe parcursul studiilor?

Firdapse a fost mai eficace decât placebo în tratarea pacienților cu SMLE. Într-unul din studii, NDS a fost redus de la 40 la 22 de puncte la pacienții tratați cu Firdapse, comparativ cu o scădere până la 35 de puncte la pacienții tratați cu placebo. Celălalt studiu a demonstrat o reducere de 2 puncte a scorului QMG la pacienții tratați cu Firdapse, comparativ cu o creștere de 0,25 puncte la pacienții tratați cu placebo. În cadrul celui de-al treilea studiu combinat, pacienții tratați cu Firdapse au prezentat ameliorări mai mari ale PAMC decât pacienții tratați cu placebo. În studiul privind QT, s-a observat că amifampridina nu are efecte asupra activității inimii, după cum au indicat electrocardiogramele voluntarilor sănătoși care au participat la acest studiu.

Care sunt riscurile asociate cu Firdapse?

Cele mai frecvente efecte secundare raportate asociate cu Firdapse sunt parestezie (senzații neobișnuite, precum furnicături și înțepături) și tulburări gastrointestinale, cum sunt epigastralgia (durere în jurul părții superioare a stomacului), diaree, greață și dureri abdominale (dureri de stomac).

Firdapse este contraindicat pacienților cu antecedente de epilepsie sau pacienților cu astm necontrolat sau sindroame QT congenitale (perturbări ale contracțiilor cardiace). Acesta este contraindicat în asociere cu sultopridă (un medicament antipsihotic) sau cu medicamente despre care se știe că provoacă prelungirea intervalului QTc (o modificare a activității electrice a inimii). De asemenea, administrarea sa este contraindicată în asociere cu medicamente cu indice terapeutic îngust. Un medicament cu indice terapeutic îngust poate cauza cu ușurință efecte secundare dacă se administrează la doze puțin mai mari decât doza recomandată.

Pentru lista completă a efectelor secundare și a restricțiilor asociate cu Firdapse, consultați prospectul.

De ce a fost aprobat Firdapse?

CHMP a hotărât că beneficiile Firdapse sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

Firdapse a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Firdapse. 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 Firdapse?

Compania care produce Firdapse va furniza date suplimentare din studii privind cancerul la modele experimentale.

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

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Firdapse să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Firdapse, au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

De asemenea, companiei care comercializează Firdapse i s-a solicitat să creeze un registru al pacienților pentru pacienții cu SMLE. Compania se asigură că întregului personal medico-sanitar despre care se preconizează că va utiliza medicamentul i se furnizează informații despre modul de introducere a propriilor pacienți în registru.

Alte informații despre Firdapse

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Zenas, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 23 decembrie 2009. La 28 ianuarie 2010, denumirea medicamentului a fost schimbată în Firdapse.

EPAR-ul complet pentru Firdapse este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Firdapse, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Firdapse este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 04-2014.