

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Naglazyme

galsulfază

Prezentul document este un rezumat al Raportului european public de evaluare (EPAR) pentru Naglazyme. 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 Naglazyme.

Ce este Naglazyme?

Naglazyme este o soluție perfuzabilă (picurare în venă) care conține substanța activă galsulfază (1 mg/ml).

Pentru ce se utilizează Naglazyme?

Naglazyme se utilizează pentru tratarea pacienților cu mucopolizaharidoză tip VI (MPZ VI sau sindromul Maroteaux-Lamy). Boala este cauzată de lipsa unei enzime numite N-acetilgalactozamin 4-sulfatază, care este necesară pentru descompunerea substanțelor din organism cunoscute ca glicozaminoglicani (GAG). Dacă enzima nu este prezentă, GAG nu poate fi descompus și se acumulează în celule. Acest lucru determină apariția semnelor bolii, cele mai evidente fiind statura mică, capul mare și mobilitatea redusă. Boala este de obicei diagnosticată la copiii cu vârsta cuprinsă între unu și cinci ani.

Deoarece numărul pacienților cu boala MPS VI este scăzut, boala este considerată „rară”, iar Naglazyme a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rar întâlnite) la 14 februarie 2001.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Naglazyme?

Tratamentul cu Naglazyme trebuie supravegheat de un medic cu experiență în abordarea terapeutică a pacienților cu MPS VI sau boli similare. Tratamentul trebuie administrat în locuri unde este disponibil echipamentul de resuscitare pentru cazuri de urgențe medicale.

Naglazyme se administrează o dată pe săptămână sub formă de perfuzie cu durata de patru ore. Doza recomandată este de 1 mg pe kilogram de greutate corporală. Înainte de fiecare perfuzie, trebuie administrate pacienților antihistaminice pentru a reduce riscul apariției unei reacții alergice. De asemenea, pacienților li se poate administra un medicament pentru prevenirea febrei.

Cum acționează Naglazyme?

Naglazyme este o terapie de substituție enzimatică. Terapia de substituție enzimatică asigură pacienților enzima deficitară. Substanța activă din Naglazyme, galsulfaza, este o copie a enzimei umane N-acetilgalactozamin 4-sulfatază. Naglazyme ajută la descompunerea carbohidraților GAG și oprește acumularea lor în celule. Acest lucru poate ameliora simptomele MPS VI, inclusiv mobilitatea pacienților.

Galsulfaza este produsă printr-o metodă cunoscută sub numele de „tehnologia ADN-ului recombinant”: este produsă de o celulă care a primit o genă (ADN), care o face capabilă să producă această enzimă.

Cum a fost studiat Naglazyme?

Naglazyme a fost comparat cu placebo (un tratament inactiv) în cadrul unui studiu principal la care au participat 39 de pacienți cu MPS VI, cu vârste cuprinse între cinci și 29 de ani. Principala măsură a eficacității a fost distanța care a putut fi parcursă de pacienți după 24 de săptămâni de tratament.

Ce beneficii a prezentat Naglazyme în timpul studiilor?

Naglazyme a fost mai eficace decât placebo. După 24 de săptămâni de tratament, pacienții tratați cu Naglazyme și-au îmbunătățit cu 109 metri distanța pe care o puteau parcurge în 12 minute, comparativ cu pacienții tratați cu placebo, care și-au îmbunătățit distanța cu 18 metri.

Care sunt riscurile asociate cu Naglazyme?

În cadrul studiilor, cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Naglazyme (observate la mai mult de 1 din 10 pacienți) au fost durerile de urechi, dispneea (dificultate respiratorie), durerea abdominală și durerea generală. De asemenea, pacienții pot prezenta reacții la perfuzie (cum ar fi febra, frisoanele, mâncărimea și urticaria). Pentru lista completă a tuturor efectelor secundare raportate asociate cu Naglazyme, a se consulta prospectul.

Naglazyme nu se administrează persoanelor care pot prezenta hipersensibilitate (alergie) la galsulfază sau la oricare alt ingredient al acestui medicament.

De ce a fost aprobat Naglazyme?

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

Comitetul a subliniat că, deși pacienții sub vârsta de cinci ani nu au fost incluși în studiul principal pentru Naglazyme, este important să fie tratați dacă au o formă severă de MPS VI.

Naglazyme a fost autorizat în „circumstanțe excepționale”. Aceasta înseamnă că, datorită rarității bolii, nu a fost posibilă obținerea informațiilor complete privind Naglazyme. 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 Naglazyme?

Societatea care produce Naglazyme efectuează în prezent studii pentru a analiza siguranța și eficacitatea pe termen lung a administrării Naglazyme la femei însărcinate, la cele care alăptează și la copii sub cinci ani, pentru a observa dacă pacienții dezvoltă anticorpi (proteine care sunt produse în organism ca răspuns la Naglazyme, care ar putea afecta răspunsul la tratament) și pentru a analiza efectele secundare ale medicamentului. De asemenea, societatea efectuează studii pentru a stabili doza optimă care trebuie administrată cu regularitate pacienților, pe termen lung.

Alte informații despre Naglazyme

Comisia Europeană a acordat BioMarin Europe Limited o autorizație de introducere pe piață pentru Naglazyme, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 24 ianuarie 2006. Autorizația de introducere pe piață este valabilă pe perioadă nelimitată.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Naglazyme se poate găsi pe site-ul agenției ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

EPAR-ul complet pentru Naglazyme este disponibil pe site-ul agenției la ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Naglazyme, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau consultați medicul sau farmacistul.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 12-2010.