EMA/645177/2022
EMEA/H/C/005352

Upstaza (eladocagen exuparvovec)

Prezentare generală a Upstaza și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Upstaza și pentru ce se utilizează?

Upstaza este un medicament pentru terapie genică utilizat la adulți, adolescenți și copii cu vârsta de cel puțin 18 luni, cu deficiență severă de decarboxilază L-aminoacid aromatică (AADC), cu diagnostic confirmat genetic.

Deficiența de AADC este o boală ereditară care afectează sistemul nervos, ducând la simptome precum întârzieri de dezvoltare, tonus muscular slab și incapacitatea de a controla mișcarea membrelor.

Deficiența de AADC este rară, iar Upstaza a fost desemnat „medicament orfan" (un medicament utilizat în boli rare) la 18 noiembrie 2016. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161786.

Upstaza este un tip de medicament pentru terapie avansată numit „medicament pentru terapie genică". Acesta este un tip de medicament care acționează prin eliberarea de gene în organism.

Upstaza conține eladocagen exuparvovec, o versiune funcțională a genei AADC într-un virus modificat (vector viral adeno-asociat). Virusul utilizat în acest medicament nu este cunoscut ca provocând boli la om.

Cum se utilizează Upstaza?

Upstaza se poate obține numai pe bază de prescripție medicală și trebuie administrat într-o sală de operații, sub anestezie, de un medic cu experiență în chirurgia cerebrală. Se administrează prin perfuzie în creier. După perfuzie, pacientului i se face o scanare cerebrală. Medicul va monitoriza recuperarea și va verifica eventualele reacții adverse în urma operației și a tratamentului.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Upstaza, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Upstaza?

Deficiența de AADC este cauzată de mutații ale genei care produce enzima AADC. Această enzimă este necesară pentru a produce dopamină, un neurotransmițător important în controlul mișcării. Pacienții cu deficiență de AADC nu au o versiune a enzimei care să funcționeze corespunzător, ceea ce duce la o producție foarte mică sau inexistentă de dopamină în creier. Medicamentul conține un virus cu o

© European Medicines Agency, 2022. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

versiune funcțională a genei AADC. Când se administrează pacientului, este de așteptat ca virusul să transporte gena AADC în celulele nervoase, permițându-le să producă enzima care lipsește. Se preconizează că acest lucru, la rândul său, permite celulelor să producă dopamina de care au nevoie pentru a funcționa corespunzător, ameliorând astfel simptomele afecțiunii.

Ce beneficii a prezentat Upstaza pe parcursul studiilor?

Beneficiile Upstaza au fost demonstrate în trei studii principale care au cuprins 28 de copii cu vârsta între 1,5 și 8,5 ani cu deficiență severă de AADC confirmată printr-un test genetic. Principalele măsuri ale eficacității au fost controlul capului și capacitatea de a sta în șezut fără ajutor. Studiile au demonstrat că aproximativ 70 % (14 din 20) din pacienți și-au putut controla mișcarea capului, iar aproximativ 65 % (12 din 20) din pacienți au putut sta în șezut fără ajutor la doi ani după tratament. Datele din literatura științifică de specialitate au demonstrat că pacienții cu deficiență severă de AADC care nu urmaseră niciun tratament nu au putut atinge aceste etape de dezvoltare.

Care sunt riscurile asociate cu Upstaza?

Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Upstaza (care poate afecta mai mult de 1 persoană din 10) este diskinezia (mișcări necontrolate).

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Upstaza, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Upstaza în UE?

Trei studii principale au demonstrat că Upstaza este eficace în îmbunătățirea capacității de a controla mișcarea capului și de a sta în șezut la pacienții cu deficiență de AADC. Deoarece deficiența de AADC este o boală foarte rară, studiul a fost mic, dar datele disponibile pe termen scurt au indicat că Upstaza ar putea fi eficace în realizarea unor etape importante de dezvoltare la copii. Deși datele privind siguranța Upstaza sunt limitate, reacțiile adverse observate până în prezent sunt considerate gestionabile terapeutic. Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Upstaza sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE, și la adulți cu deficiență de AADC, având în vedere gravitatea afecțiunii și lipsa de tratamente existente.

Upstaza a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauză că indicația este întâlnită atât de rar, nu s-au putut obține informații complete despre medicament. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza informațiile nou apărute, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Upstaza?

Având în vedere că Upstaza a fost autorizat în condiții excepționale, compania care comercializează Upstaza va furniza date suplimentare din studiile în curs de desfășurare și va efectua un nou studiu pentru a caracteriza mai bine siguranța și eficacitatea pe termen lung ale Upstaza.

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

Compania care comercializează Upstaza trebuie să se asigure că spitalele în care se administrează Upstaza au expertiza, echipamentele și instruirea corespunzătoare.

Compania trebuie să furnizeze materiale educaționale pentru personalul medical și pacienți cu privire la procedura chirurgicală și la reacțiile adverse posibile.

De asemenea, compania trebuie să furnizeze date suplimentare pentru a demonstra și că Upstaza este fabricat în mod consecvent cu respectarea aceloraşi standarde de calitate.

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

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Upstaza sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Upstaza sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Upstaza

Informații suplimentare cu privire la Upstaza sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/upstaza.