



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/741937/2015
EMA/H/C/000477

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Aldurazyme

Iaronidáza

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Aldurazyme. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Aldurazyme.

Čo je liek Aldurazyme?

Aldurazyme je infúzny roztok podávaný (kvapkaním) do žily, ktorý obsahuje účinnú látku Iarodinázu.

Na čo sa liek Aldurazyme používa?

Liek Aldurazyme sa používa u pacientov s potvrdenou diagnózou mukopolysacharidózy I (MPS I, nedostatok α -L-iduronidázy) na liečbu neneurologických prejavov choroby (t.j. symptómov, ktoré nesúvisia s mozgom alebo nervami). MPS I je zriedkavá dedičná choroba, pri ktorej je hladina enzýmu α -L-iduronidázy oveľa nižšia, ako by mala byť. To znamená, že látky nazývané glykozamínoglykány (GAG) sa nerozkladajú, ale sa hromadia v takmer všetkých orgánoch v tele a poškodzujú ich. Neneurologické prejavy MPS I sa môžu prejaviť zväčšenou pečeňou, stuhnutím kĺbov sťažujúcim pohyb, zmenšením kapacity pľúc, ochorením srdca a očí.

Výdaj lieku je viazaný na lekárske predpis.

Ako sa liek Aldurazyme používa?

Liečba liekom Aldurazyme má prebiehať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti so starostlivosťou o pacientov s MPS I alebo inými dedičnými metabolickými chorobami. Liek Aldurazyme sa má podávať v nemocnici alebo na klinike, kde je k dispozícii zariadenie na resuscitáciu a kde môžu pacienti dostať pred infúziou v prípade potreby lieky na zabránenie alergickej reakcie. Liek Aldurazyme sa podáva jedenkrát týždenne formou infúzie do žily. Liek je určený na dlhodobé používanie.



Akým spôsobom liek Aldurazyme účinkuje?

Účinná látka lieku Aldurazyme, laronidáza, je kópiou ľudského enzýmu α -L-iduronidázy. Vyrába sa tzv. technológiou rekombinantnej DNA: enzým vyrábajú bunky, do ktorých bol vložený gén (DNA) umožňujúci tvoriť laronidázu. Laronidáza sa používa ako tzv. substitučná enzýmová liečba, t. j. pacientom s MPS I sa ňou dopĺňa chýbajúci enzým. Upravujú sa tak prejavy choroby MPS I a zlepšuje sa kvalita života pacienta.

Ako bol liek Aldurazyme skúmaný?

Liek Aldurazyme sa porovnával s placebom (zdanlivým liekom) v prípade 45 pacientov vo veku 6 rokov a starších s potvrdenou diagnózou MPS I. Hlavným meradlom účinnosti bola nútená vitálna kapacita (ukazovateľ, ako dobre fungujú pľúca) a vzdialenosť, ktorú pacienti dokázali prejsť za šesť minút. Merania sa uskutočnili pred začiatkom liečby a po 26 týždňoch liečby. Potom štúdia pokračovala ďalšie štyri roky a všetci pacienti dostávali liek Aldurazyme.

Účinky lieku Aldurazyme sa skúmali aj u 20 detí mladších ako 5 rokov, ktoré dostávali tento liek počas jedného roka. Štúdia bola zameraná predovšetkým na bezpečnosť lieku, ako aj na stanovenie miery schopnosti lieku znižovať hladiny glykozamínoglykánov v moči a na meranie veľkosti pečene.

Aký prínos preukázal liek Aldurazyme v týchto štúdiách?

Štúdiou sa preukázalo, že liek Aldurazyme zlepšil nútenú vitálnu kapacitu pľúc a schopnosť chôdze pacientov po 26 týždňoch. Toto zlepšenie sa udržalo až štyri roky.

V prípade detí mladších ako 5 rokov sa liekom Aldurazyme znížili hladiny glykozamínoglykánov v moči o približne 60 %. Polovica liečených detí mala na konci štúdie pečeň normálnej veľkosti.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Aldurazyme?

Väčšina pozorovaných vedľajších účinkov lieku Aldurazyme sú reakcie spôsobené skôr postupom pri podávaní infúzie ako samotným liekom. Niektoré z nich sú závažné, ale postupom času sa ich počet znižuje. Najčastejšie vedľajšie účinky u pacientov starších ako päť rokov (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) sú bolesti hlavy, nauzea (pocit nevoľnosti), abdominálna (brušná) bolesť, vyrážka, artropatia (poškodenie kĺbov), artralgia (bolesť kĺbov), bolesti chrbta, bolesti v končatinách (ruky a chodidlá), návaly, pyrexia (horúčka) a reakcie v mieste podania infúzie. V prípade pacientov mladších ako päť rokov sú najčastejšími vedľajšími účinkami (pozorovanými u viac ako 1 pacienta z 10) zvýšený krvný tlak, znížená saturácia kyslíkom (miera funkcie pľúc), tachykardia (rýchly srdcový pulz), pyrexia a triaška. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Aldurazyme sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Takmer u všetkých pacientov, ktorí dostávajú liek Aldurazyme, sa vytvoria protilátky (proteíny, ktoré sa vytvoria ako odpoveď na liek Aldurazyme). Ich účinok na bezpečnosť a účinnosť lieku nie je celkom známy.

Liek Aldurazyme nesmú používať osoby s vážnou alergiou na laronidázu alebo na iné zložky lieku.

Prečo bol liek Aldurazyme povolený?

Výbor CHMP rozhodol, že liek Aldurazyme poskytuje účinnú kontrolu symptómov MPS I. Výbor CHMP rozhodol, že prínosy lieku Aldurazyme sú väčšie než riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na uvedenie na trh.

Liek Aldurazyme bol pôvodne povolený za tzv. mimoriadnych okolností, pretože kvôli zriedkavosti tohto ochorenia bolo v čase povolenia dostupné len obmedzené množstvo údajov. Keďže spoločnosť predložila ďalšie požadované informácie, tieto mimoriadne okolnosti sa 16. decembra 2015 skončili.

Ďalšie informácie o lieku Aldurazyme

Dňa 10. júna 2003 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Aldurazyme na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Aldurazyme sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Aldurazyme, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 11-2015