



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Naglazyme

galsulfáza

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

Čo je liek Naglazyme?

Naglazyme je infúzny roztok (na kvapkanie do žily), ktorý obsahuje účinnú látku galsulfáza (1 mg/ml).

Na čo sa liek Naglazyme používa?

Liek Naglazyme sa používa na liečbu pacientov s mukopolysacharidózou VI (MPS VI alebo aj Maroteaux-Lamyho syndróm). Toto ochorenie je spôsobené nedostatkom enzýmu nazývaného N-acetylgalaktozamin 4-sulfatáza, ktorý je potrebný na štiepenie látok v tele označovaných ako glykózaminoglykány (GAGs). Ak tento enzým nie je v tele prítomný, glykózaminoglykány sa nemôžu štiepiť a hromadia sa v bunkách. To spôsobuje príznaky ochorenia, z ktorých najnápadnejšie sú malý vzrast, veľká hlava a ťažkosti s pohybom. Ochorenie je obvykle diagnostikované u malých detí vo veku 1 až 5 rokov.

Kedže je počet pacientov s ochorením MPS VI nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Naglazyme 14. februára 2001 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Naglazyme užíva?

Liečba liekom Naglazyme by mala prebiehať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s MPS VI alebo podobnými chorobami. Liek by sa mal podávať tam, kde je k dispozícii zariadenie na resuscitáciu v akútnych prípadoch.



Liek Naglazyme sa podáva ako 4-hodinová infúzia raz za týždeň. Odporúčaná dávka je 1 mg na kilogram telesnej váhy. Pred každou infúziou by mali pacienti dostať antihistaminikum na zníženie rizika alergickej reakcie. Pacientom sa môže podať aj liek na zabránenie vzniku horúčky.

Akým spôsobom liek Naglazyme účinkuje?

Liek Naglazyme je liečba, ktorou sa nahrádza enzým. V rámci liečby, ktorou sa nahrádza enzým, sa pacientom dodáva tento chýbajúci enzým. Účinná látka lieku Naglazyme, galsulfáza, je kópiou ľudského enzýmu N-acetylgalaktozamín 4-sulfatázy. Liek Naglazyme pomáha štiepiť glykózaminoglykány a zastavuje ich hromadenie sa v bunkách. To môže zmierniť symptómy MPS VI vrátane zlepšenia schopnosti pacientov pohybovať sa.

Galsulfáza sa vyrába tzv. technológiou rekombinantnej DNA: vyrába ho bunka, do ktorej bol vložený gén (DNA), ktorý jej umožňuje produkovať tento enzým.

Ako bol liek Naglazyme skúmaný?

Liek Naglazyme sa porovnával s placebom (zdanlivým liekom) v jednej hlavnej štúdii, ktorá zahŕňala 39 pacientov s ochorením MPS VI vo veku medzi 5 až 29 rokov. Hlavnou mierou účinnosti lieku bola vzdialenosť, ktorú mohli pacienti prejsť chôdzou po 24 týždňoch liečby.

Aký prínos preukázal liek Naglazyme v týchto štúdiách?

Liek Naglazyme bol účinnejší ako placebo. Po 24 týždňoch liečby sa priemerná vzdialenosť, ktorú boli schopní pacienti prekonať chôdzou za 12 minút predĺžila o 109 metrov u pacientov liečených liekom Naglazyme v porovnaní s predĺžením o 18 metrov u pacientov užívajúcich placebo.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Naglazyme?

V štúdiách najčastejšie vedľajšie účinky lieku Naglazyme (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) boli bolesť uší, dyspnoe (ťažkosti s dýchaním), bolesť brucha a celková bolesť. Pacienti môžu zaznamenať aj reakcie na infúziu (ako sú horúčka, zimnica, vyrážka a žihľavka). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Naglazyme sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Liek Naglazyme by nemali užívať osoby, ktoré môžu byť precitlivené (alergické) na galsulfázu alebo na iné zložky lieku.

Prečo bol liek Naglazyme povolený?

Výbor CHMP rozhodol, že prínos lieku Naglazyme je väčší než riziká spojené s jeho užívaním a odporučil udeliť povolenie na uvedenie lieku na trh.

Výbor poznamenal, že hoci pacienti mladší ako päť rokov neboli zaradení do hlavnej štúdie skúmajúcej liek Naglazyme, je dôležité liečiť ich, ak majú závažnú formu ochorenia MPS VI.

Liek Naglazyme bol povolený za „mimoriadnych okolností“. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Naglazyme. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Naglazyme dosiaľ neboli predložené?

Spoločnosť, ktorá vyrába liek Naglazyme vykonáva štúdie, v ktorých sa skúma dlhodobá bezpečnosť a účinnosť lieku Naglazyme u tehotných a dojčiacich žien a u detí mladších ako päť rokov, pričom sa sleduje, či sa u nich tvoria protilátky (bielkoviny, ktoré produkuje telo ako reakciu na liek Naglazyme, čo by mohlo ovplyvniť odpoveď na liečbu) a skúmajú sa aj vedľajšie účinky lieku. Spoločnosť vykonáva aj štúdie na určenie najlepšej dávky na užívanie u pacientov pri pravidelnej dlhodobej liečbe.

Ďalšie informácie o lieku Naglazyme:

Dňa 24. januára 2006 Európska komisia vydala spoločnosti BioMarin Europe Limited povolenie na uvedenie lieku Naglazyme na trh platné v celej Európskej únii. Platnosť povolenia na uvedenie na trh je časovo neobmedzená.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Naglazyme sa nachádza na webovej stránke agentúry [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Úplné znenie správy EPAR o lieku Naglazyme sa nachádza na webovej stránke agentúry EMA [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Naglazyme, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 12-2010