



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447423/2016
EMA/H/C/001249

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Vpriv

velagluceráza alfa

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Vpriv. 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 Vpriv.

Čo je liek Vpriv?

Vpriv je liek, ktorý obsahuje účinnú látku velaglucerázu alfa. Je dostupný vo forme prášku, z ktorého sa pripravuje infúzy roztok podávaný (kvapkaním) do žily.

Na čo sa liek Vpriv používa?

Liek Vpriv sa používa na dlhodobú liečbu pacientov s Gaucherovou chorobou. Gaucherova choroba je zriedkavá vrodená porucha, keď ľudia nemajú dostatok enzýmu nazývaného glukocerebrozidáza, ktorý za normálnych okolností rozkladá tuk nazývaný glukocerebrozid. Bez tohto enzýmu sa glukocerebrozid ukladá v tele, zvyčajne v pečeni, slezine a kostiach, čo vyvoláva príznaky ochorenia: anémiu (nízky počet červených krviniek), únavu, ľahké vytváranie modrín a sklon ku krvácaniu, zväčšenú slezinu a pečeň, bolesť a zlomeniny kostí.

Liek Vpriv sa používa v prípade pacientov, ktorí majú Gaucherovu chorobu 1. typu, čo je typ, ktorý zvyčajne postihuje pečeň, slezinu a kosti.

Keďže je počet pacientov s Gaucherovou chorobou nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Vpriv 9. júna 2010 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých ochoreniach).

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.



Ako sa liek Vpriv používa?

Na liečbu liekom Vpriv má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s Gaucherovou chorobou.

Odporúčaná dávka lieku Vpriv je 60 jednotiek na kilogram telesnej hmotnosti, ktorá sa podáva ako jednohodinová infúzia každé dva týždne. Dávka sa môže upraviť podľa príznakov každého pacienta a podľa odpovede na liečbu. Prvé tri infúzie sa podávajú v nemocnici, ale ďalšie infúzie sa môžu podávať doma v prípade pacientov, ktorí liek dobre znášajú. Na infúzie podávané doma má dohliadať zdravotnícky odborník, ktorý je zaškolený pre prípad núdzových situácií.

Akým spôsobom liek Vpriv účinkuje?

Gaucherova choroba sa vyskytuje z dôvodu nedostatku enzýmu, ktorý sa nazýva glukocerebrozidáza. Velagluceráza alfa nahrádza enzým chýbajúci pri Gaucherovej chorobe a pomáha rozkladať glukocerebrozid a zastaviť jeho ukladanie v tele.

Ako bol liek Vpriv skúmaný?

V jednej hlavnej štúdií zahŕňajúcej 35 pacientov (vrátane 9 detí) s Gaucherovou chorobou 1. typu sa liek Vpriv porovnával s imiglucerázou (ďalším liekom na Gaucherovu chorobu). Hlavnou mierou účinnosti bolo zlepšenie anémie, jedného z príznakov choroby, po 41 týždňoch. V štúdií sa tiež skúmala kontrola iných príznakov ochorenia, napríklad zvýšenie počtu krvných doštičiek v krvi a zníženie veľkosti pečene a sleziny.

Aký prínos preukázal liek Vpriv v týchto štúdiách?

Liek Vpriv bol pri zmiernení anémie rovnako účinný ako imigluceráza. Liek Vpriv zvýšil množstvo hemoglobínu (proteín v červených krvinkách, ktorý prenáša kyslík) priemerne o 1,6 gramu na deciliter (z 11,4 g/dl), zatiaľ čo imigluceráza zvýšila množstvo hemoglobínu priemerne o 1,5 g/dl (z 10,6 g/dl). Z výsledkov štúdie tiež vyplynulo, že liek Vpriv je pri kontrolovaní ďalších príznakov Gaucherovej choroby rovnako účinný ako imigluceráza.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Vpriv?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Vpriv (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) sú reakcie spojené s injekciou, ktoré zahŕňajú bolesť hlavy, závraty, hypotenzia (nízky krvný tlak), hypertenzia (vysoký krvný tlak), nauzea (nevoľnosť), asténia (slabosť) alebo únava a pyrexia (horúčka) alebo zvýšená telesná teplota. Najzávažnejší vedľajší účinok je precitlivosť (alergické reakcie).

Liek Vpriv nesmú užívať osoby, ktoré majú závažnú alergickú reakciu na velaglucerázu alfa alebo na niektorú z ďalších zložiek lieku.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení pri používaní lieku Vpriv sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Vpriv povolený?

Výbor CHMP rozhodol, že prínosy lieku Vpriv sú väčšie než riziká spojené s jeho používaním a odporučil vydať povolenie na uvedenie lieku na trh.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Vpriv?

Spoločnosť uvádzajúca liek Vpriv na trh poskytne vzdelávacie materiály všetkým lekárom, o ktorých sa predpokladá, že budú používať liek Vpriv. Bude v nich informovať o spôsobe zvládnutia reakcií súvisiacich s infúziou, keď sa liek podáva v domácom prostredí.

Do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa boli takisto zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktorými sa majú riadiť zdravotnícki odborníci a pacienti na dosiahnutie bezpečného a účinného používania lieku Vpriv.

Ďalšie informácie o lieku Vpriv

Dňa 26. augusta 2010 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Vpriv na trh platné v celej Európskej únii.

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

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

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 06-2016