

EMA/246404/2010
EMA/H/C/001032

Povzetek EPAR za javnost

Firdapse¹ amifampridin

Ta dokument je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Firdapse. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil to zdravilo, na podlagi česar je oblikoval mnenje za izdajo dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

Kaj je zdravilo Firdapse?

Firdapse je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino amifampridin. Na voljo je v obliki tablet (10 mg).

Za kaj se zdravilo Firdapse uporablja?

Zdravilo Firdapse se uporablja za zdravljenje odraslih s simptomi Lambert-Eatonovega miastenijskega sindroma (LEMS). To je bolezen, ki se kaže z mišično šibkostjo, ki nastane zaradi motnje prenosa električnih impulzov po živcih do mišic.

Ker je bolnikov z Lambert-Eatonovim miastenijskim sindromom malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Firdapse dne 18. decembra 2002 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Izdaja zdravila je le na recept.

Kako se zdravilo Firdapse uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Firdapse se lahko uvede le pod nadzorom zdravnika, ki ima izkušnje z zdravljenjem Lambert-Eatonovega miastenijskega sindroma.

¹ Prej znano kot Zenas.

Priporočeni začetni odmerek zdravila Firdapse je 15 mg na dan, ki se lahko povečuje po 5 mg vsake štiri do pet dni do največ 60 mg na dan. Jemlje se v ločenih odmerkih tri ali štiri krat dnevno, posamezni odmerek pa ne sme preseči 20 mg. Zdravilo Firdapse je treba jemati s hrano.

Kako zdravilo Firdapse deluje?

Da se mišice krčijo, morajo živci prek kemijskega prenašalca, imenovanega acetilholin, do njih prenesti električne impulze. Acetilholin se iz živčnih končičev sprošča v fazi „depolarizacije“.

Zdravilna učinkovina zdravila Firdapse, amifampridin, je zaviralec kalijevih kanalčkov, ki preprečuje potovanje nabitih kalijevih delcev iz živčnih celic. Zato se faza depolarizacije podaljša in se lahko acetilholin dlje sprošča iz živcev ter tako spodbuja krčenje mišic.

Kako je bilo zdravilo Firdapse raziskano?

Ker se zdravila z zdravilno učinkovino amifampridin v Evropski uniji uporabljajo že več kot dvajset let, je družba v podporo uporabi zdravila Firdapse predstavila rezultate študij o amifampridinu iz znanstvene literature. V dveh objavljenih študijah, v kateri je bilo vključenih 38 odraslih z Lambert-Eatonovim miastenijskim sindromom, so amifampridin primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Glavna merila učinkovitosti so temeljila na merjenju učinkovitosti delovanja mišic po točkovnem sistemu: oceni nevrološke okvare ali kvantitativni oceni miastenije gravis. Pri bolnikih z nižjo oceno nevrološke okvare ali nižjo kvantitativno oceno miastenije gravis mišice delujejo bolje. V drugi študiji so združili podatke iz dveh objavljenih študij in preverili sestavljeni mišični akcijski potencial (CMAP). Sestavljeni mišični akcijski potencial je merilo električne aktivnosti mišic. Poleg tega so proučevali učinek zdravila Firdapse na interval QT (električna aktivnost srca).

Kakšne koristi je zdravilo Firdapse izkazalo med študijami?

Zdravilo Firdapse je bilo učinkovitejše od placeba pri zdravljenju bolnikov z Lambert-Eatonovim miastenijskim sindromom. V eni študiji se je pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Firdapse, ocena nevrološke okvare znižala s 40 na 22 točk, pri bolnikih, ki so jemali placebo, pa na 35 točk. V drugi študiji se je pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Firdapse, kvantitativna ocena miastenije gravis znižala za 2 točki, medtem ko se je pri bolnikih, ki so jemali placebo, zvišala za 0,25 točke. V tretji kombinirani študiji se je sestavljeni mišični akcijski potencial pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Firdapse, izboljšal bolj kot pri bolnikih, ki so jemali placebo. V študiji vpliva na električno aktivnost srca so ugotovili, da amifampridin ne vpliva na dejavnost srca, kar so v okviru te študije dokazali z elektrokardiogrami zdravih prostovoljcev.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Firdapse?

Najpogostejši neželeni učinki, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Firdapse, so parestezija (nenavadni občutki zbadanja) in prebavne motnje, kot so epigastralgija (bolečina v zgornjem delu želodca), driska, navzeja (slabost) in bolečine v trebuhu.

Zdravila Firdapse ne smejo uporabljati bolniki z epilepsijo, ali bolniki z neobvladovano astmo oziroma kongenitalnimi sindromi QT (motnjami srčnega ritma). Ne sme se uporabljati s sultopridom (antipsihotičnim zdravilom) ali z zdravili, ki povzročajo podaljšanje QTc (spremembe električne aktivnosti srca). Prav tako se ne sme uporabljati z zdravili z ozkim terapevtskim oknom. Zdravilo z ozkim terapevtskim oknom lahko v odmerku, nekoliko višjem od priporočenega, zlahka povzroči neželene učinke.

Za celoten seznam vseh neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Firdapse glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Firdapse odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je zaključil, da so koristi zdravila Firdapse večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj izda dovoljenje za promet.

Zdravilo Firdapse je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh informacij o njem. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in posodobila ta povzetek, če bo to potrebno.

Katere informacije o zdravilu Firdapse še pričakujemo?

Družba, ki proizvaja zdravilo Firdapse bo predložila dodatne podatke iz študij raka na poskusnih modelih.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Firdapse?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Firdapse je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila Firdapse in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Poleg tega mora družba, ki trži zdravilo Firdapse, pripraviti register bolnikov z Lambert-Eatonovim miastenjskim sindromom. Zagotovila bo, da bodo vsi zdravstveni delavci, ki bodo uporabljali zdravilo, prejeli informacije o načinu vnašanja njihovih bolnikov v register.

Druge informacije o zdravilu Firdapse

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Zenas, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 23. decembra 2009. Ime zdravila je bilo 28. januarja 2010 spremenjeno v Firdapse.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Firdapse je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Firdapse preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Firdapse je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 04-2014.