



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Naglazyme

galsulfaza

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

Kaj je zdravilo Naglazyme?

Zdravilo Naglazyme je raztopina za infuzijo (kapalno infuzijo v veno), ki vsebuje zdravilno učinkovino galsulfazo (1 mg/ml).

Za kaj se zdravilo Naglazyme uporablja?

Zdravilo Naglazyme se uporablja za zdravljenje bolnikov z mukopolisaharidozo VI (MPS VI ali Maroteaux-Lamyjevim sindromom). To bolezen povzroča pomanjkanje encima, imenovanega N-acetilgalaktozamin-4-sulfataza, ki je potreben za razgradnjo snovi v telesu, imenovanih glikozaminoglikani (GAG). Če encim ni prisoten, glikozaminoglikanov ni mogoče razgraditi, zato se kopičijo v celicah. Tako se pokažejo znaki bolezni, od katerih so najopaznejši nizka rast, velika glava in težave pri gibanju. Bolezen običajno odkrijejo pri otrocih, starih od ena do pet let.

Ker je bolnikov z MPS VI malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Naglazyme dne 14. februarja 2001 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo, ki se uporablja pri redkih boleznih).

Zdravilo se dobi samo na recept.

Kako se zdravilo Naglazyme uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Naglazyme mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z MPS VI ali podobnimi boleznimi. Dajati se mora v okolju, kjer je na voljo oprema za oživiljanje v nujnem primeru.



Zdravilo Naglazyme se daje v obliki štiriurne infuzije enkrat na teden. Priporočeni odmerek je 1 mg na kilogram telesne mase. Pred vsako infuzijo je treba bolniku dati antihistaminik za zmanjšanje tveganja za alergijske reakcije. Lahko pa prejme tudi zdravilo za preprečevanje zvišanja telesne temperature.

Kako zdravilo Naglazyme deluje?

Zdravilo Naglazyme je zdravilo za encimsko nadomestno zdravljenje. Encimska nadomestna terapija zagotavlja bolnikom encim, ki jim ga primanjkuje. Zdravilna učinkovina zdravila Naglazyme, galsulfaza, je kopija humanega encima N-acetilgalaktozamin-4-sulfataze. Zdravilo Naglazyme prispeva k razgradnji glikozaminoglikanov in ustavi njihovo kopičenje v celicah. Tako se izboljšajo simptomi MPS IV, vključno s sposobnostjo bolnikovega gibanja.

Galsulfazo proizvajajo z metodo, znano kot „tehnologija rekombinantne DNK“, pri kateri celica prejme gen (DNK), s katerim lahko tvori encim.

Kako je bilo zdravilo Naglazyme raziskano?

Zdravilo Naglazyme so primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine) v eni glavni študiji, v kateri je sodelovalo 39 bolnikov z MPS VI, starih od pet do 29 let. Glavno merilo učinkovitosti je bila razdalja, ki jo je bolnik lahko prehodil po 24 tednih zdravljenja.

Kakšne koristi je zdravilo Naglazyme izkazalo med študijami?

Zdravilo Naglazyme je bilo učinkovitejše od placeba. Po 24 tednih je bila povprečna prehojena razdalja v 12 minutah daljša za 109 metrov pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Naglazyme, in za 18 metrov pri bolnikih, ki so prejeli placebo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Naglazyme?

V študijah so bili najpogostejši neželeni učinki zdravila Naglazyme (opaženi pri več kot 1 bolniku od 10) bolečine v ušesih, dispneja (težave z dihanjem), bolečine v trebuhu in splošne bolečine. Opažene so bile tudi reakcije na infuzijo (kot so povišana telesna temperatura, mrazenje, izpuščaji in koprivnica). Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Naglazyme, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Naglazyme ne smejo uporabljati osebe, ki utegnejo biti preobčutljive za (alergične na) galsulfazo ali katero koli drugo sestavino zdravila.

Zakaj je bilo zdravilo Naglazyme odobreno?

CHMP je zaključil, da so koristi zdravila Naglazyme večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj odobri dovoljenje za promet.

Odbor je opozoril, da je za bolnike, mlajše od pet let, pomembno, da prejmejo zdravljenje, če imajo hudo obliko MPS VI, čeprav niso bili vključeni v glavno študijo z zdravilom Naglazyme.

Zdravilo Naglazyme je bilo odobreno „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh informacij o zdravilu. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto pregledala vse razpoložljive nove podatke in po potrebi posodobila ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Naglazyme še pričakujemo?

Družba, ki izdeluje zdravilo Naglazyme, bo izvedla študije za proučitev dolgoročne varnosti in učinkovitosti zdravila Naglazyme pri nosečih in doječih ženskah ter pri otrocih, mlajših od pet let, da bi ugotovili, ali pri njih nastanejo protitelesa (beljakovine, ki jih telo tvori kot odziv na zdravilo Naglazyme in ki lahko vplivajo na odziv na zdravljenje), ter proučili neželene učinke zdravila. Izvedli bodo tudi študije za določitev najustrežnejšega odmerka za bolnike ob dolgoročni redni uporabi.

Druge informacije o zdravilu Naglazyme

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Naglazyme, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila družbi BIoMarin Europe Limited dne 24. januarja 2006. Dovoljenje za promet z zdravilom velja za nedoločen čas.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Naglazyme je na voljo na spletni strani agencije ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Naglazyme 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 Naglazyme preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 12-2010.