

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Firdapse (¹)

amifampridin

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Firdapse. Det förklarar hur kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är Firdapse?

Firdapse är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen amifampridin. Det finns som tabletter (10 mg).

Vad används Firdapse för?

Firdapse används för att behandla symtomen vid Lambert-Eatons myastena syndrom (LEMS) hos vuxna. LEMS är en sjukdom som medför muskelsvaghet hos patienterna på grund av att nerverna inte överför elektriska impulser till musklerna.

Eftersom antalet patienter med LEMS är litet betraktas sjukdomen som sällsynt. Den 18 december 2002 klassificerades Firdapse som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar).

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används Firdapse?

Behandling med Firdapse ska endast inledas under överinseende av en läkare som har erfarenhet av att behandla LEMS.

¹ Tidigare känt som Zenas.

Den rekommenderade startdosen Firdapse är 15 mg om dagen och kan ökas med 5 mg var fjärde till femte dag upp till maximalt 60 mg per dag. Firdapse tas i uppdelade doser tre eller fyra gånger om dagen och en dos ska inte vara högre än 20 mg. Firdapse ska tas tillsammans med föda.

Hur verkar Firdapse?

För att musklerna ska kunna dra ihop sig måste nerverna överföra elektriska impulser till musklerna via ett kemiskt ämne som kallas acetylkolin. Acetylkolin frisätts från nervändarna under en period som kallas depolarisation.

Den aktiva substansen i Firdapse, amifampridin, är en kaliumkanalblockerare som hindrar laddade kaliumpartiklar från att gå ut ur nervcellerna. Detta förlänger depolarisationsperioden, så att nerverna får mer tid på sig att frisätta acetylkolin och på så sätt stimulera musklerna till att dra ihop sig.

Hur har Firdapses effekt undersökts?

Eftersom läkemedel med amifampridin har använts inom EU i över 20 år lade företaget fram resultaten av studier av amifampridin från den vetenskapliga litteraturen för att stödja användningen av Firdapse. I två publicerade studier på 38 vuxna med LEMS jämfördes amifampridin med placebo (overksam behandling). Huvudeffektmått baserades på en gradering av hur väl musklerna arbetade. Man använde ett poängsystem, antingen NDS-skalan (neurological disability score) eller QMG-skalan (quantitative myasthenia gravis). Patienter med låga NDS- eller QMG-poäng har bättre muskelfunktion. I en annan studie kombinerade man data från de två publicerade studierna och undersökte den sammantagna aktionspotentialen för musklerna, CMAP (compound muscle action potential). CMAP är ett mått på elektrisk aktivitet i musklerna. Dessutom undersöktes Firdapses effekt på QT-intervallet (hjärtats elektriska aktivitet).

Vilken nytta har Firdapse visat vid studierna?

Firdapse var effektivare än placebo vid behandling av patienter med LEMS. I en studie minskade NDS från 40 till 22 poäng hos patienter som fick Firdapse, jämfört med en sänkning till 35 poäng hos patienterna som fick placebo. Den andra studien visade en minskning av QMG-poängen med 2 poäng hos patienter som fick Firdapse, jämfört med en höjning med 0,25 poäng hos patienterna som fick placebo. I den tredje kombinerade studien noterades en större förbättring av CMAP hos patienterna som fick Firdapse än hos patienterna som fick placebo. I QT-studien konstaterades att amifampridin inte påverkar hjärtverksamheten, vilket framgår av de elektrokardiogram (EKG) som gjorts på friska frivilliga som deltagit i denna studie.

Vilka är riskerna med Firdapse?

De vanligaste biverkningarna som rapporterats för Firdapse är parestesi (ovanliga känslöförmålor, t.ex. domningar och stickningar) och mag-tarmrubbningar, t.ex. epigastralgi (smärtor i övre delen av magen), diarré, illamående och buksmärter (magont).

Firdapse får inte ges till patienter som har epilepsi eller till patienter med okontrollerad astma eller medfött QT-syndrom (störd hjärtrytm). Det får inte ges tillsammans med sultoprid (ett antipsykotiskt läkemedel) eller tillsammans med läkemedel som man vet kan orsaka QTc-förlängning (en förändring i hjärtats elektriska aktivitet). Det får inte heller ges tillsammans med läkemedel som har ett smalt terapeutiskt fönster. Ett läkemedel med ett smalt terapeutiskt fönster kan lätt orsaka biverkningar om den givna dosen är lite högre än den rekommenderade dosen.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Firdapse finns i bipacksedeln.

Varför har Firdapse godkänts?

CHMP fann att nyttan med Firdapse är större än riskerna och rekommenderade att Firdapse skulle godkännas för försäljning.

Firdapse har godkänts enligt förfarandet för undantagsfall. Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Firdapse eftersom sjukdomen är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när så behövs.

Vilken information om Firdapse saknas för närvarande?

Företaget som tillverkar Firdapse kommer att lämna ytterligare uppgifter från studier av cancer i experimentmodeller.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Firdapse?

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Firdapse används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Firdapse. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

Dessutom ska företaget som marknadsför Firdapse inrätta ett patientregister för patienter med LEMS. Företaget kommer att se till att all vårdpersonal som förväntas använda läkemedlet får information om hur de ska föra in patienterna i registret.

Mer information om Firdapse

Den 23 december 2009 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Zenas som gäller i hela EU. Den 28 januari 2010 ändrades läkemedlets namn till Firdapse.

Det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Mer information om behandling med Firdapse finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Firdapse från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 04-2014.