

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Naglazyme

galsulfas

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

Vad är Naglazyme?

Naglazyme är en infusionsvätska, lösning (ges som dropp i en ven) som innehåller den aktiva substansen galsulfas (1 mg/ml).

Vad används Naglazyme för?

Naglazyme används för att behandla patienter med mukopolysackaridos typ VI (MPS VI eller Maroteaux-Lamys syndrom). Sjukdomen orsakas av brist på ett enzym kallat N-acetylgalaktosamin 4-sulfatas som behövs för att bryta ned ämnen i kroppen som kallas glykosaminoglykaner (GAG). Om enzymet saknas kan inte GAG brytas ner utan ansamlas i cellerna. Följden blir olika sjukdomstecken. De mest påtagliga är att patienten blir kortväxt, får stort huvud och svårigheter att röra på sig. Sjukdomen diagnosticeras vanligen på barn mellan ett och fem års ålder.

Eftersom antalet patienter med MPS VI är litet betraktas sjukdomen som sällsynt. Den 14 februari 2001 klassificerades Naglazyme som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar).

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används Naglazyme?

Behandlingen med Naglazyme ska övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med MPS VI eller liknande sjukdomar. Behandling ska ges där det finns återupplivningsutrustning så att det är möjligt att hantera eventuella akuta krissituationer.

Naglazyme ges som en fyra timmar lång infusion en gång i veckan. Den rekommenderade dosen är 1 mg per kilogram kroppsvikt. Före varje infusion ska patienten få ett antihistaminpreparat för att minska risken för en allergisk reaktion. Patienterna kan eventuellt också få ett medel som förebygger feber.

Hur verkar Naglazyme?

Naglazyme är en enzymsättningsbehandling. Enzymsättningsbehandling ger patienter det enzym de saknar. Den aktiva substansen i Naglazyme, galsulfas, är en kopia av det humana enzymet N-acetylgalaktosamin 4-sulfatas. Naglazyme hjälper till att bryta ner glykosaminoglykanerna och hindrar dem från att ansamlas i cellerna. Det gör att symtomen på MPS VI kan lindras, bland annat att patienternas förmåga att röra sig förbättras.

Galsulfas framställs med en metod som kallas rekombinant DNA-teknik, vilket innebär att det framställs av en cell som fått en gen (DNA) som gör att cellen kan producera enzymet.

Hur har Naglazymes effekt undersökts?

Naglazyme har jämförts med placebo (overksam behandling) i en huvudstudie som omfattade 39 patienter med MPS VI i åldrarna 5-29 år. Huvudmålet på effekt var hur långt patienterna kunde gå efter 24 veckors behandling.

Vilken nytta har Naglazyme visat vid studierna?

Naglazyme var effektivare än placebo. Efter 24 veckor hade den sträcka som Naglazyme-behandlade patienter kunde gå under 12 minuter ökat med i genomsnitt 109 meter och med 18 meter för dem som fick placebo.

Vilka är riskerna med Naglazyme?

I studierna var de vanligaste biverkningarna (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) ont i öronen, dyspné (andningssvårigheter), magont och allmän smärta. Patienter kan också få reaktioner på infusionen (t.ex. feber, frossa, hudutslag och nässelfeber). Förteckningen över samtliga biverkningar som rapporterats för Naglazyme finns i bipacksedeln.

Naglazyme ska inte ges till personer som kan vara överkänsliga (allergiska) mot galsulfas eller något annat innehållsämne.

Varför har Naglazyme godkänts?

CHMP fann att fördelarna med Naglazyme är större än riskerna och rekommenderade att Naglazyme skulle godkännas för försäljning.

Kommittén noterade att även om patienter under fem års ålder inte ingick i huvudstudien av Naglazyme är det ändå viktigt att de behandlas om de har en svår form av MPS VI.

Naglazyme har godkänts enligt förfarandet för undantagsfall. Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Naglazyme eftersom sjukdomen är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten går varje år igenom eventuell ny information som kan ha kommit fram och aktualiserar denna sammanfattning när så behövs.

Vilken information om Naglazyme saknas för närvarande?

Företaget som tillverkar Naglazyme genomför studier för att följa upp Naglazymes långsiktiga säkerhet och effekt vid behandling av gravida och ammande kvinnor liksom av barn under fem års ålder, för att se om de utvecklar antikroppar (proteiner som kroppen bildar som en reaktion mot Naglazyme och som skulle kunna påverka effekten av behandlingen) och för att undersöka biverkningarna av läkemedlet. Företaget genomför också studier för att fastställa bästa dos vid regelbunden behandling under längre tid.

Mer information om Naglazyme:

Den 24 januari 2006 beviljade Europeiska kommissionen BioMarin Europe Limited ett godkännande för försäljning av Naglazyme som gäller i hela Europeiska unionen. Godkännandet för försäljning gäller utan tidsbegränsning.

Sammanfattningen av yttrandet om Naglazyme från Kommittén för 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).

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats under [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 Naglazyme finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller ditt apotek.

Denna sammanfattning aktualiserades senast 12-2010.