



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447425/2016
EMA/H/C/001249

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Vpriv

velaglukeras alfa

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Vpriv. 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 Vpriv?

Vpriv är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen velaglukeras alfa. Det finns som ett pulver som bereds till en infusionsvätska, lösning (ges som dropp i en ven).

Vad används Vpriv för?

Vpriv används för långtidsbehandling av patienter med Gauchers sjukdom, som är en sällsynt ärftlig sjukdom. Personer som har denna sjukdom har brist på ett enzym som kallas glukocerebrosidas. Under normala förhållanden bryter detta enzym ner ett fettämne som kallas glukocerebrosid. Utan enzymet lagras glukocerebrosid i kroppen, vanligen i levern, mjälten och skelettet, vilket ger upphov till sjukdomens symtom: anemi (lågt antal röda blodkroppar), trötthet, lätthet att få blåmärken och blödningar, förstörd mjälte och lever samt smärta och frakturer i skelettet.

Vpriv ges till patienter som har Gauchers sjukdom typ 1, den typ som vanligen drabbar lever, mjälte och skelett.

Eftersom antalet patienter med Gauchers sjukdom är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Vpriv klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 9 juni 2010.

Läkemedlet är receptbelagt.



Hur används Vpriv?

Behandling med Vpriv bör övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med Gauchers sjukdom.

Den rekommenderade dosen Vpriv är 60 enheter/kg kroppsvikt, som ges som en infusion under en timme varannan vecka. Dosen kan justeras utifrån patientens symtom och patientens svar på behandlingen. De första tre infusionerna ges på sjukhus, men de efterföljande infusionerna kan ges i hemmet till patienter som tolererar läkemedlet väl. Infusioner i hemmet ska övervakas av vårdpersonal som fått utbildning i akutvård.

Hur verkar Vpriv?

Gauchers sjukdom orsakas av brist på ett enzym kallat glukocerebrosidas. Velaglukeras alfa ersätter det enzym som saknas hos patienter med Gauchers sjukdom, bidrar till att bryta ned glukocerebrosid och förhindrar att det lagras i kroppen.

Hur har effekten av Vpriv undersökts?

I en huvudstudie som omfattade 35 patienter (varav 9 barn) med Gauchers sjukdom typ 1 jämfördes Vpriv med imiglukeras (ett annat läkemedel mot Gauchers sjukdom). Huvudeffektområdet var förbättringen av anemin, ett av sjukdomssymtomen, efter 41 veckor. I studien tittade man också på kontrollen av andra tecken på sjukdomen, till exempel ökning av antalet blodplättar och minskning av leverns och mjältens storlek.

Vilken nytta har Vpriv visat vid studierna?

Vpriv var lika effektivt som imiglukeras när det gäller att minska anemin. Vpriv ökade hemoglobinnivåerna (det protein i de röda blodkropparna som transporterar syre) med i genomsnitt 1,6 gram per deciliter (från 11,4 g/dl), medan imiglukeras ökade hemoglobinnivåerna med i genomsnitt 1,5 g/dl (från 10,6 g/dl). Studien visade också att Vpriv är lika effektivt som imiglukeras när det gäller att kontrollera andra symtom på Gauchers sjukdom.

Vilka är riskerna med Vpriv?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Vpriv (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är infusionsrelaterade reaktioner, bland annat huvudvärk, yrsel, hypotoni (lågt blodtryck), hypertoni (høgt blodtryck), illamående, asteni (orkeslöshet) eller trötthet, och pyrexia (feber) eller förhöjd kroppstemperatur. Den allvarligaste biverkningen är överkänslighetsreaktioner (allergi).

Vpriv får inte ges till personer med allvarliga allergiska reaktioner mot velaglukeras alfa eller något annat innehållsämne.

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

Varför har Vpriv godkänts?

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

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

Företaget som marknadsför Vpriv kommer att ge samtliga läkare och patienter som förväntas använda Vpriv ett utbildningsmaterial där de informeras om hur de ska hantera risken för infusionsrelaterade reaktioner när läkemedlet ges hemma.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Vpriv har också tagits med i produktresumén och bipacksedelIn.

Mer information om Vpriv

Den 26 augusti 2010 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Vpriv som gäller i hela EU.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats under [EMA website/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](#). Mer information om behandling med Vpriv finns i bipacksedelIn (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av yttrandet om Vpriv från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats under [EMA website/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](#).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 06-2016.