

Резюме ПУР препарату Вімізим для громадськості

Зміст

VI.2.1 ОГЛЯД ЕПІДЕМІОЛОГІЇ ЗАХВОРЮВАННЯ

VI.2.2. РЕЗЮМЕ ПЕРЕВАГ ЛІКУВАННЯ

VI.2.3 НЕВІДОМІ ДАНІ ЩОДО ПЕРЕВАГ ЛІКУВАННЯ

VI.2.4 РЕЗЮМЕ ПРОБЛЕМ БЕЗПЕКИ

- 1.1. ВАЖЛИВІ ВИЯВЛЕНІ РИЗИКИ
- 1.2. ВАЖЛИВІ ПОТЕНЦІЙНІ РИЗИКИ
- 1.3. ВІДСУТНЯ ІНФОРМАЦІЯ

VI.2.5 РЕЗЮМЕ ЗАХОДІВ З МІНІМІЗАЦІЇ РИЗИКІВ З МІРКУВАНЬ БЕЗПЕКИ

VI.2.6. ЗАПЛАНОВАНИЙ ПЛАН ПІСЛЯРЕЄСТРАЦІЙНОГО РОЗВИТКУ

- 1.4. ПЕРЕЛІК ДОСЛІДЖЕНЬ В ПЛАНІ ПІСЛЯРЕЄСТРАЦІЙНОГО РОЗВИТКУ
- 1.5. ДОСЛІДЖЕННЯ, ЩО Є УМОВОЮ ОТРИМАННЯ РЕЄСТРАЦІЙНОГО ПОСВІДЧЕННЯ

VI.2.7. РЕЗЮМЕ ЗМІН У ПЛАНІ УПРАВЛІННЯ РИЗИКАМИ ПРОТЯГОМ ЧАСУ

VI.2.1 Огляд епідеміології захворювання

Мукополісахаридоз типу IVA (MPS IVA) є рідкісним спадковим захворюванням, коли організм не в змозі виробляти фермент, який називається N-ацетилгалактозамін-6-сульфатаза. Він потрібен для розщеплення речовин, званих глікозаміногліканами (або GAGs). Це призводить до проблем з кістками та суглобами та здатності нормально дихати. Більшість пацієнтів значно обмежені як у здатності рухатися, так і у витривалості, і часто для усунення проблем з кістками і суглобами потрібні численні хірургічні процедури. Багато пацієнтів припиняють користуватися допоміжними засобами для ходьби до початку підліткового віку. У міру старіння пацієнтів респіраторні проблеми часто стають більш вираженими і можуть провокувати виникнення пневмонії (інфекції легенів) і дихальної недостатності, а проблеми з кістками і суглобами в спині можуть привести до слабкості, оніміння, проблемам з контролем кишечника або сечового міхура і навіть паралічу або смерті. У більшості пацієнтів з MPS IVA тривалість життя скорочується, хоча це залежить від швидкості погіршення симптомів.

VI.2.2. Резюме переваг лікування

Вімізим був досліджений у подвійному сліпому дослідженні (мається на увазі, що пацієнти та їхні лікарі не знали, яким пацієнтам проводили лікування), в яких брали участь 176 пацієнтів з MPS IVA, де Вімізим порівнювали з плацебо (фіктивне лікування). Дослідження показало, що Вімізим, який застосовувався один раз на тиждень протягом приблизно 6 місяців, був більш ефективним, ніж плацебо в збільшенні відстані, пройденої пацієнтом за 6 хвилин. З даних дослідження також були отримані деякі докази, що свідчать про те, що препарат може покращити ефективність дихання або підняття по сходах у пацієнтів, а у дітей поліпшити показники росту в порівнянні з дітьми без МПС IVA.

VI.2.3 Невідомі дані щодо переваг лікування

Невідомо, чи матиме Вімізим інший ефект чи буде менш безпечним при застосуванні в групах, які ще не вивчені: вагітні жінки або жінки, годують груддю, або пацієнти з проблемами печінки або нирок. Жоден пацієнт віком до 65 років не отримувал Вімізим.

VI.2.4 Резюме проблем безпеки

Важливі виявлені ризики

Ризик	Що відомо	Запобіжні заходи
Інфузійні реакції (включаючи анафілаксію та важкі алергічні реакції)	Інфузійні реакції - це реакції, які відбуваються під час інфузії або до кінця дня, наступного за інфузією. Понад 90% суб'єктів в клінічних дослідженнях мали принаймні одну інфузійну реакцію. Найбільш поширені реакції - це головний біль, лихоманка, блювання та нудота. Більшість реакцій на інфузію не є серйозними, або покращуються самостійно, або за допомогою основних методів лікування (наприклад, антигістамінний засіб), проте деякі суб'єкти мали більш серйозні реакції, які потребували лікування стероїдами та киснем для допомоги з диханням. Анафілаксія - особливо серйозний вид алергічної реакції. До поширених симптомів анафілаксії відносяться свербіж, висип, набряк, утруднене дихання, припливи крові та падіння артеріального тиску. Анафілаксію можна лікувати, але зазвичай потрібно невідкладне лікування, наприклад, адреналін.	Лікування антигістамінним препаратом з жарознижуючим засобом або без нього (ліки від лихоманки) приблизно за 30-60 хвилин до інфузії знижує ймовірність інфузійних реакцій. Лікарі та інші медичні працівники, які будуть давати Вімізім пацієнтам, будуть навчені тому, як розпізнавати інфузійні реакції, включаючи анафілаксію, і що робити для їх лікування.

Важливі потенційні ризики

Ризик	Що відомо
Організм може виробляти антитіла, які атакують препарат (Імуногенність)	У всіх пацієнтів, яких лікували Вімізімом, в крові вироблялися антитіла проти препарату. Коли кров пацієнтів перевіряли в лабораторії, приблизно у 80% пацієнтів також було вироблено особливий вид антитіл, які можуть блокувати препарат від зв'язування з клітинами, де це необхідно. Хоча ці спеціальні антитіла були знайдені в лабораторії, не було ніяких доказів того, що препарат був небезпечним або менш ефективним у пацієнтів, у яких вироблялися антитіла, в порівнянні з пацієнтами, у яких цього не було.
Проблеми з нервами в спині (Компресія спинного мозку/шийного відділу спинного мозку (включаючи в'язість та маскування міслопатичних симптомів)	У незначної кількості пацієнтів, що приймали Вімізім, відбулася компресія спинного мозку/шийного відділу спинного мозку. Компресія спинного мозку/шийного відділу спинного мозку - це коли нерви, які проходять по шийі і спині, затискаються або пошкоджуються. Це пошкодження може викликати такі проблеми, як слабкість, оніміння, проблеми з контролем кишечника або сечового міхура і навіть параліч або смерть. Стиснення спинного мозку також відбувається у пацієнтів з MPS

	IVA, які не приймають Вімізим, і не було ніяких доказів того, що прийом препарату підвищував ймовірність розвитку компресії спинного мозку у пацієнта.
Помилки при застосуванні лікарського засобу	Помилки при застосуванні лікарського засобу спостерігалися під час клінічних випробувань у приблизно 2,8% усіх інфузій. Найпоширенішою причиною цих помилок було те, що пацієнт не отримував правильної дози в залежності від його / її поточної ваги (тому пацієнт міг отримати більше або менше рекомендованої дози). Більшість цих помилок не вплинули на безпеку пацієнта або на ефективність препарату.

Відсутня інформація

Ризик	Що відомо
Обмеження бази даних безпеки	Оскільки MPS IVA є рідкісним захворюванням, кількість пацієнтів, які отримували лікування Вімізімом у клінічних дослідженнях, була невеликою (близько 235 пацієнтів у базових дослідженнях). Можливо, нечасті побічні ефекти, які можуть бути пов'язані з Вімізімом, не були помічені, оскільки ще недостатньо пацієнтів пройшли лікування.
Безпека у пацієнтів з раніше існуючими захворюваннями органів	Існує обмежена інформація про використання Вімізіму у пацієнтів з існуючими захворюваннями серця, печінки або нирок. Невідомо, чи буде Вімізим діяти по-іншому або викликати різні побічні ефекти в цих групах.
Безпека під час вагітності та лактації	Вімізим не вивчався у жінок, які вагітні або годують груддю, або пацієнтів, партнери яких вагітні або годують груддю.

VI.2.5 Резюме заходів з мінімізації ризиків з міркувань безпеки

Усі препарати мають коротку характеристику лікарського засобу (КХЛЗ), яка надає лікарям, фармацевтам та іншим медичним працівникам детальну інформацію про те, як застосовувати препарат, а також описує ризики та рекомендації щодо їх мінімізації. Інформація для пацієнтів доступна простою мовою в анотації до лікарського засобу. Заходи, перелічені в цих документах, відомі як «рутинні заходи з мінімізації ризиків». КХЛЗ та анотація до лікарського засобу є частиною інформації про препарат. Інформацію про препарат Вімізим можна знайти на сторінці EPAR Вімізіму.

Цей лікарський засіб має особливі умови та обмеження щодо його безпечного та ефективного застосування (додаткові заходи з мінімізації ризиків). Повна інформація про ці умови та ключові елементи будь-якого навчального матеріалу ви знайдете у Додатку II інформації про препарат, яка розміщена на сторінці EPAR Вімізіму; як вони будуть реалізовані в кожній країні, однак, буде залежати від домовленості між власником реєстраційного посвідчення та органами державної влади.

Ці додаткові заходи з мінімізації ризиків стосуються наступних ризиків:

- Помилки при застосуванні лікарського засобу
- Інфузійні реакції (включаючи анафілаксію та важкі алергічні реакції)

Захід з мінімізації ризиків: Програма професійної освіти в галузі охорони здоров'я
Мета та обґрунтування: Навчальний матеріал слід надати медичним працівникам для мінімізації ризику помилок при застосуванні лікарського засобу.
Опис: власник реєстраційного посвідчення на препарат Вімізім надасть медичним працівникам, які, як очікується, будуть використовувати та/або призначати препарат Вімізім, навчальні матеріали, інформуючи їх про належне зберігання, підготовку та застосування препарату Вімізім та ризик виникнення важких алергічних реакцій.

VI.2.6. Запланований план післяреєстраційного розвитку

Перелік досліджень в плані післяреєстраційного розвитку

Дослідження/ захід (включаючи номер дослідження)	Цілі	Досліджувані проблеми безпеки/ефективності	Статус	Дата надання проміжних або підсумкового звітів
MPS IVA Програма клінічного реєстру (CRP)	Цілі реєстру полягають в наступному: <ul style="list-style-type: none"> • Охарактеризувати та описати популяцію з MPS IVA загалом, включаючи неоднорідність, прогресування та природну історію MPS IVA. • Оцінити довгострокову ефективність і безпеку Вімізіма, включаючи, крім іншого, виникнення серйозних реакцій гіперчутливості, анафілаксії і змін у статусі антитіл. • Допомогти медичній спільноті у розробці рекомендацій щодо моніторингу пацієнтів з MPS IVA та звітів про результати пацієнтів для оптимізації догляду за пацієнтами. • Зібрати дані про інші методи лікування і 	Безпека: Додаткові зібрані дані допоможуть розширити знання про виявлені та потенційні ризики елосульфазу альфа, а також збільшать розмір бази даних безпеки та, можливо, нададуть нову інформацію про використання у певних підгрупах (вагітність, порушення функцій печінки та нирок, серцева недостатність). Ефективність: Додаткові зібрані дані допоможуть оцінити довгострокову ефективність елосульфазу альфа.	Розпочато Q3 2014	Річні проміжні звіти. Остаточний звіт повинен бути представлений в березні 2025 року.

	<p>оцінити поширеність їх використання та їх ефективність.</p> <ul style="list-style-type: none"> • Охарактеризувати ефекти та безпеку лікування препаратом Вімізім до 5 років з моменту запису до Реєстру для пацієнтів до 5 років. • Контролювати вплив вагітності, включаючи результати для матері, новонароджених та немовлят. • Спостерігати за пацієнтами, які пройшли клінічні випробування MOR-005 та MOR-007. <p>Цим пацієнтам буде запропоновано записатись у відповідному Реєстрі додаткового дослідження та їх моніторинг буде проводитися з використанням графіків оцінки MOR-005 і MOR-007 відповідно</p>			
--	--	--	--	--

Дослідження, що є умовою отримання реєстраційного посвідчення

Немає досліджень, які б являли собою умови для реєстрації лікарського препарату або специфічні зобов'язання препарату Вімізім.