

Резюме плану управління ризиками для лікарського засобу Ламзеде (велманаза альфа)

Це резюме Плану управління ризиками (ПУР) для Ламзеде. ПУР детально описує важливі ризики Ламзеде, як ці ризики можна мінімізувати, а також яким чином буде отримано більше інформації про ризики та невизначеності (відсутня інформація) Ламзеде.

Інструкція для медичного застосування лікарського засобу Ламзеде надає важливу інформацію медичним працівникам та пацієнтам про те, як слід застосовувати Ламзеде.

Це резюме ПУР для Ламзеде слід читати в контексті всієї цієї інформації, включаючи звіт про результати оцінки та його коротке резюме, що є частиною Європейського звіту щодо оцінки лікарських засобів (EPAR).

Важливі нові проблеми або зміни до поточних будуть включені в оновлений ПУР для Ламзеде.

I. Лікарський засіб та мета його застосування

Ламзеде схвалений для ферментозамісної терапії при неврологічних проявах захворювання в пацієнтів із альфа-манозидозом легкого та помірного ступенів тяжкості. Він містить велманазу альфа як діючу речовину і застосовується шляхом внутрішньовенної інфузії із контрольованою швидкістю.

Більше інформації про оцінку користі Ламзеде можна знайти у звіті EPAR для Ламзеде, включаючи його резюме доступною мовою, опублікована на веб-сайті ЕМА на веб-сторінці лікарського засобу:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/lamzede>

II. Ризики, пов'язані з лікарським засобом, заходи з мінімізації ризиків або подальшої характеристики ризиків

Важливі ризики Ламзеде разом із заходами щодо мінімізації таких ризиків та запропонованими дослідженнями, що допоможуть дізнатися більше про ризики Ламзеде, наведені нижче.

Заходи з мінімізації ризиків, виявлених для Ламзеде, можуть включати:

- Конкретну інформацію, наприклад попередження, запобіжні заходи та поради щодо правильного використання в інструкції для медичного застосування лікарського засобу, адресовану пацієнтам та медичним працівникам;
- Важливі поради на маркуванні упаковки лікарського засобу;
- Дозволений розмір упаковки – кількість лікарського засобу в упаковці вибрано таким чином, щоб забезпечити правильне використання ліків;
- Правовий статус лікарського засобу – категорія відпуску лікарського засобу пацієнту (наприклад, з або без рецепта) може допомогти мінімізувати його ризики.

Ці заходи разом становлять *рутинні заходи з мінімізації ризиків*.

Крім цих заходів, постійно здійснюється збір та регулярно аналізується інформація про небажані реакції, включаючи оцінку регулярно оновлюваного звіту з безпеки (РОЗБ) для

Ламзеде, щоб за необхідності вжити негайних заходів. Ці заходи становлять *рутинну діяльність з фармаконагляду*.

Якщо важлива інформація, що може вплинути на безпечне використання Ламзеде, ще недоступна, вона включена, як проблема з безпеки, в розділі «Відсутня інформація» нижче.

II.A Перелік важливих ризиків та відсутньої інформації

Важливі ризики – це ризики, що потребують спеціальних заходів з управління ризиками з метою подальшого вивчення або мінімізації ризику, для безпечного застосування лікарського засобу. Важливі ризики можуть бути розцінені як ідентифіковані або потенційні. Ідентифіковані ризики – це проблеми, для яких наявні достатні докази їх зв'язку із застосуванням лікарського засобу Ламзеде. Потенційні ризики – це проблеми, для яких зв'язок із застосуванням даного лікарського засобу є можливим на основі наявних даних, однак цей зв'язок ще не є доведеним і потребує подальшої оцінки. Відсутня інформація – це інформація з безпеки лікарського засобу, яка наразі не вивчена і яку потрібно зібрати (наприклад, довготривалий прийом лікарського засобу).

Перелік важливих ризиків та відсутньої інформації	
Важливі ідентифіковані ризики	<ul style="list-style-type: none"> • Реакції, пов'язані з інфузією • Імуногенність • Гіперчутливість
Важливі потенційні ризики	<ul style="list-style-type: none"> • Втрата свідомості • Гостра ниркова недостатність • Лікарські помилки через самостійне введення/інфузію в домашніх умовах
Відсутня інформація	<ul style="list-style-type: none"> • Довгострокова безпека • Безпека у пацієнтів неєвропеїдної раси • Безпека у вагітних або годуючих жінок • Безпека у пацієнтів із недостатністю функції печінки або нирок • Безпека для пацієнтів, які не здатні виконувати тест на витривалість

II.B Резюме важливих ризиків та відсутньої інформації

Важливий ідентифікований ризик: Реакції, пов'язані з інфузією	
Докази зв'язку ризику з лікарським засобом	Клінічні випробування (rhLAMAN-02, rhLAMAN-03, rhLAMAN-04, rhLAMAN-05, rhLAMAN-07, rhLAMAN-08, rhLAMAN-10, SPARKLE), Італійська програма підтримки пацієнтів (PSP).
Фактори ризику та групи ризику	Не виявлено.
Заходи з мінімізації ризиків	<p><u>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</u> Викладено у розділах інструкції «Спосіб застосування та дози», «Особливості застосування», «Побічні реакції» та «Особливі заходи безпеки»</p> <p><u>Додаткові заходи з мінімізації ризиків:</u> Заходи з мінімізації ризиків відсутні.</p>

Важливий ідентифікований ризик: Імуногенність	
Докази зв'язку ризику з лікарським засобом	Клінічні випробування (rhLAMAN-02, rhLAMAN-03, rhLAMAN-04, rhLAMAN-05, rhLAMAN-08, rhLAMAN-10, SPARKLE)
Фактори ризику та групи ризику	Не виявлено.
Заходи з мінімізації ризиків	<u>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</u> - Особливі застереження та запобіжні заходи щодо імуногенності у розділі інструкції «Особливості застосування» - Зазначено у розділі інструкції «Побічні реакції» <u>Додаткові заходи з мінімізації ризиків:</u> Заходи з мінімізації ризиків відсутні.

Важливий ідентифікований ризик: Гіперчутливість	
Докази зв'язку ризику з лікарським засобом	Клінічні випробування (rhLAMAN-02, rhLAMAN-03, rhLAMAN-04, rhLAMAN-05, rhLAMAN-08, rhLAMAN-10, SPARKLE).
Фактори ризику та групи ризику	Не виявлено.
Заходи з мінімізації ризиків	<u>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</u> - Особливі застереження та запобіжні заходи щодо гіперчутливості у розділі інструкції «Особливості застосування» - Зазначено у розділі інструкції «Побічні реакції» <u>Додаткові заходи з мінімізації ризиків:</u> Заходи з мінімізації ризиків відсутні.

Важливий потенційний ризик: Втрата свідомості	
Докази зв'язку ризику з лікарським засобом	Клінічні випробування (rhLAMAN-02, rhLAMAN-03, rhLAMAN-04, rhLAMAN-05, rhLAMAN-08, rhLAMAN-10, SPARKLE).
Фактори ризику та групи ризику	Не виявлено.
Заходи з мінімізації ризиків	<u>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</u> - Зазначено у розділі інструкції «Побічні реакції» <u>Додаткові заходи з мінімізації ризиків:</u> Заходи з мінімізації ризиків відсутні.

Важливий потенційний ризик: Гостра ниркова недостатність	
Докази зв'язку ризику з лікарським засобом	Клінічні випробування (rhLAMAN-02, rhLAMAN-03, rhLAMAN-04, rhLAMAN-05, rhLAMAN-08, rhLAMAN-10, SPARKLE).
Фактори ризику та групи ризику	Артроз є поширеним супутнім захворюванням у пацієнтів і може вимагати застосування ліків, які можуть впливати на нирки. Протизапальні та протиревматичні засоби

	використовувалися у 33,3 % учасників клінічних досліджень.
Заходи з мінімізації ризиків	<u>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</u> - Зазначено у розділі інструкції «Побічні реакції» <u>Додаткові заходи з мінімізації ризиків:</u> Заходи з мінімізації ризиків відсутні.

Важливий потенційний ризик: Лікарські помилки через самостійне введення/інфузію в домашніх умовах

Докази зв'язку ризику з лікарським засобом	Клінічні випробування (rhLAMAN-02, rhLAMAN-03, rhLAMAN-04, rhLAMAN-05, rhLAMAN-07, rhLAMAN-08, rhLAMAN-10, SPARKLE), Італійська програма підтримки пацієнтів (PSP).
Фактори ризику та групи ризику	Більшість помилок у проспективному дослідженні у Великій Британії виникали під час введення болюсних доз або приготування ліків, які потребують багатоетапної підготовки ¹ . В австралійському дослідженні чотири типи помилок (неправильна швидкість внутрішньовенного введення, суміш, об'єм і несумісність препарату) спричинили 91,7 % помилок ² . Значна частина помилок вказує на недоліки навичок і знань, причому кількість помилок і серйозність зменшуються зі збільшенням клінічного досвіду ² .
Заходи з мінімізації ризиків	<u>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</u> - Спосіб застосування та інструкції щодо введення у розділі інструкції «Спосіб застосування та дози» - Фармацевтичні дані, несумісність, зберігання, утилізація, відновлення та вказівки щодо застосування в розділах інструкції «Склад», «Допоміжні речовини», «Особливі заходи безпеки», «Термін придатності», «Умови зберігання» <u>Додаткові заходи з мінімізації ризиків:</u> Заходи з мінімізації ризиків відсутні.

Відсутня інформація: Довгострокова безпека

Заходи з мінімізації ризиків	Не застосовано
------------------------------	----------------

Відсутня інформація: Безпека у пацієнтів неєвропеїдної раси

Заходи з мінімізації ризиків	Не застосовано
------------------------------	----------------

¹ Taxis K, Barber, N. Ethnographic study of incidence and severity of intravenous drug errors, *BMJ* Volume 326:684 p.1-4, 2003.

² Westbrook, JI. Errors in the administration of intravenous medications in hospital and the role of correct procedures and nurse experience. *BMJ Qual Saf* 2011;20:1027e1034.

Відсутня інформація: <i>Безпека у вагітних або годуючих жінок</i>	
Заходи з мінімізації ризиків	<u>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</u> - Застереження та запобіжні заходи стосовно застосування під час вагітності, годування груддю та впливу на фертильність у розділі інструкції «Застосування у період вагітності або годування груддю» - Доклінічні дані щодо репродуктивності та розвитку у розділі інструкції «Доклінічні дані з безпеки»

Відсутня інформація: <i>Безпеки у пацієнтів із недостатністю функції печінки або нирок</i>	
Заходи з мінімізації ризиків	<u>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</u> - Пояснення стосовно рекомендацій по дозуванню для застосування при недостатній функції печінки або нирок у розділі інструкції «Спосіб застосування та дози» - Опис фармакокінетичних властивостей у розділі інструкції «Доклінічні дані з безпеки»

Відсутня інформація: <i>Безпека для пацієнтів, які не здатні виконувати тест на витривалість</i>	
Заходи з мінімізації ризиків	Не застосовано

II.C План післяреєстраційного розвитку

II.C.1 Дослідження, які є умовами отримання реєстраційного посвідчення

Наступні дослідження є умовами для отримання реєстраційного посвідчення:

Дослідження (тип і номер)	Мета	Досліджувані питання ефективності	Статус (заплановане, розпочате)	Дата подання проміжних та заключного звітів
rhLAMAN-8 Відкрите 24 місячне дослідження у пацієнтів віком від народження до 6 років	Фармакокінетика, безпека та ефективність у пацієнтів віком від народження до 6 років	Ефективність у пацієнтів віком від народження до 6 років	Завершено	Фінальний звіт про клінічне дослідження (ЗКД) виданий 1 лютого 2021 року
Реєстр альфа-манозидозу: довготривала ефективність та безпека лікування Ламзеде у пацієнтів Європи, хворих на альфа-манозидоз	Оцінити профіль довготривалої ефективності та безпеки Ламзеде в умовах рутинного лікування. Охарактеризувати всю популяцію хворих на альфа-манозидоз, включаючи варіабельність клінічних проявів, прогресування та природний перебіг	Довготривала ефективність	Розпочате	Щорічний звіт буде поданий як частина щорічної переоцінки

II.C.2 Інші дослідження у плані післяреєстраційного розвитку

Дослідження (тип і номер)	Мета	Досліджувані питання ефективності	Статус (заплановане, розпочате)	Дата подання проміжних та заключного звітів
rhLAMAN-7 Відкрите у пацієнтів, що раніше брали участь у дослідженнях rhLAMAN-02 або rhLAMAN-05	Довготривала безпека та ефективність, включаючи вплив на якість життя	Довготривала ефективність, включаючи вплив на якість життя	Розпочате	Фінальний ЗКД Червень 2023 року
rhLAMAN-9 Відкрите у пацієнтів, що раніше брали участь у дослідженнях rhLAMAN-02 або rhLAMAN-05	Довготривала безпека та ефективність, включаючи вплив на якість життя	Довготривала ефективність, включаючи вплив на якість життя	Розпочате	Фінальний ЗКД Червень 2023 року