



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/109796/2014  
EMA/H/C/002779

## EPAR - sammendrag for offentligheden

---

### Vimizim

#### elosulfase alfa

Dette er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Vimizim. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Vimizim bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Vimizim, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

### Hvad er Vimizim, og hvad anvendes det til?

Vimizim er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof elosulfase alfa. Det bruges til behandling af sygdommen mukopolysakkaridose type IVA (kaldes også Morquio A-syndrom), som skyldes mangel på enzymet N-acetylgalactosamin-6-sulfatase. Dette enzym er nødvendigt for at nedbryde stoffer af typen glycosaminoglycaner (GAG). Hvis det mangler eller kun findes i meget små mængder, bliver GAG ikke nedbrudt, men ophobes i knogler og organer. Tegn på sygdommen er især korte knogler, nedsat bevægelighed og vejrtrækning, sløret syn og høretab.

Da antallet af patienter med mukopolysakkaridose type IVA er lavt, bliver sygdommen anset for at være "sjælden", og Vimizim blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 24. juli 2009.

### Hvordan anvendes Vimizim?

Behandlingen med Vimizim skal ske under opsyn af en læge, der har erfaring med mukopolysakkaridose type IVA eller tilsvarende sygdomme. Lægemidlet fås kun på recept og skal gives af en fagligt kvalificeret sundhedsperson.

Vimizim leveres som et koncentrat, der opløses og derefter indgives med drop (ved infusion) i en vene. Den anbefalede dosis er 2 mg pr. kg legemsvægt én gang ugentligt. Infusionen skal vare omkring fire timer. Før Vimizim indgives, skal der gives et lægemiddel, der forebygger allergisk reaktion på Vimizim. Der kan også gives et lægemiddel til at forebygge feber.



## Hvordan virker Vimizim?

Vimizim er enzymerstatningsbehandling. Ved behandlingen får patienten tilført det manglende enzym. Det aktive stof i Vimizim, elosulfase alfa, er en kopi af det naturlige menneskelige enzym N-acetylgalactosamin-6-sulfatase. Erstatningsenzymet nedbryder GAG og forhindrer, at de ophobes i cellerne. Det giver bedring i sygdomssymptomerne.

Elosulfase alfa fremstilles ved "rekombinant DNA-teknologi". Det produceres af celler, der har fået indsat et gen (DNA), som gør dem i stand til at producere enzymet.

## Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Vimizim?

Vimizim blev undersøgt i én hovedundersøgelse, der omfattede 176 patienter med mukopolysakkaridose type IVA. I undersøgelsen blev Vimizim sammenlignet med placebo (virkningsløs behandling). Virkningen blev hovedsagelig bedømt på ændringen i den distance, patienten kunne gå på seks minutter efter 6 måneders behandling.

Før behandlingen kunne patienterne i gennemsnit gå lidt over 200 meter på seks minutter. Efter seks måneders behandling kunne de patienter, der havde fået den anbefalede dosis af Vimizim, gå gennemsnitligt 37 m længere på seks minutter, mens de, der fik placebo, kunne gå 14 m længere. Undersøgelsen tyder desuden på, at lægemidlet kan forbedre patienternes vejrtrækning og evne til at gå op ad trapper samt deres vækst.

## Hvilke risici er der forbundet med Vimizim?

De almindeligste bivirkninger med Vimizim (som kan optræde hos mere end 1 af hver 10 behandlede) er reaktioner på infusionen. De består i hovedpine, kvalme, opkastning, kulderystelser og mavesmerter. Normalt er disse bivirkninger lette eller moderate, og de optræder oftere i de første 12 uger af behandlingen. En alvorlig, men ikke almindelig reaktion på infusionen er svær allergisk reaktion (anafylaksi). Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger med Vimizim fremgår af indlægssedlen.

Vimizim må ikke anvendes hos patienter, der har haft en livstruende allergisk reaktion på elosulfase alfa eller på andre af indholdsstofferne.

## Hvorfor er Vimizim blevet godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) afgjorde, at fordelene ved Vimizim overstiger risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU. CHMP konkluderede, at det var påvist, at Vimizim var effektivt til at forbedre den afstand, patienterne kunne gå på seks minutter efter 6 måneders behandling. Der var også andre gavnlige virkninger, bl.a. kunne de bedre klare dagligdags aktiviteter. Udvalget fandt desuden, at sikkerhedsprofilen af Vimizim ser ud til at kunne håndteres. Alvorlige bivirkninger er ualmindelige, men der må indsamles yderligere langsigtede sikkerhedsdata.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Vimizim?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Vimizim anvendes så risikofrit som muligt. I produktresuméet og indlægssedlen for Vimizim er der sikkerhedsoplysninger baseret på denne plan, bl.a. passende forholdsregler for sundhedspersonale og patienter.

Desuden skal den virksomhed, der fremstiller Vimizim, udlevere oplysningsmateriale til de læger, som kan tænkes at ville ordinere lægemidlet. Materialet skal informere om, hvordan lægemidlet anvendes,

og risikoen for alvorlige allergiske reaktioner. Virksomheden skal derudover oprette et register til vurdering af de langsigtede fordele og risici ved Vimizim.

Yderligere information findes i [resuméet af risikostyringsplanen](#).

## **Andre oplysninger om Vimizim**

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Vimizim den 28. april 2014.

Den fuldstændige EPAR og en sammenfatning af risikohåndteringsplanen for Vimizim findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Vimizim, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Vimizim findes på EMA's websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dette sammendrag blev senest ajourført i 04-2014.