EMA/645184/2022
EMEA/H/C/005352

Upstaza (eladokagén-expaparvovek)

Az Upstaza-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Upstaza és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Upstaza egy génterápiás gyógyszer, amelyet felnőttek és 18 hónapos vagy idősebb gyermekek esetében alkalmaznak súlyos aromás L-aminosav-dekarboxiláz (AADC) hiányban szenvedő betegeknél, genetikailag igazolt diagnózis mellett.

Az AADC-hiány egy örökletes betegség, amely az idegrendszert érinti, és olyan tünetekhez vezet, mint a fejlődés visszamaradása, gyenge izomtónus és a végtagok mozgásának kontrollálására való képtelenség.

Mivel az AADC-hiány „ritkának" minősül, ezért az Upstaza-t 2016. november 18-án „ritka betegség elleni gyógyszerré" minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161786.

Az Upstaza a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „génterápiás gyógyszernek" neveznek. Ez a gyógyszertípus azáltal fejti ki hatását, hogy géneket juttat a szervezetbe.

Az Upstaza a módosított vírusban található AADC gén funkcionális változatát (adeno-asszociált vírusvektor), eladokagén-exparvoveket tartalmaz. A gyógyszerben alkalmazott vírusról nem ismert, hogy emberi betegséget okozna.

Hogyan kell alkalmazni a Upstaza-t?

Az Upstaza csak receptre kapható, és érzéstelenítés mellett, műtőben kell beadni az agyműtétek terén tapasztalattal rendelkező orvos által. A gyógyszert az agyba adott infúzióban alkalmazzák. Az infúzió beadását követően a betegnél agyi képalkotó vizsgálatot végeznek. Az orvos figyelemmel fogja kísérni a felépülést, és ellenőrizni fogja a műtét és a kezelés mellékhatásait.

Az Upstaza alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

© European Medicines Agency, 2022. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Hogyan fejti ki hatását az Upstaza?

Az AADC-hiányt az AADC enzimet termelő gén mutációi okozzák. Ez az enzim a dopamin, egy, a mozgás szabályozásában fontos neurotranszmitter előállításához szükséges. Az AADC-hiányban szenvedő betegeknél az enzim nem működik megfelelően, ami nagyon kevés dopamintermelést vagy a dopamintermelés teljes hiányát eredményezi az agyban. A gyógyszer egy olyan vírusból áll, amely az AADC gén működő változatát tartalmazza. A betegnek beadva a vírus várhatóan az AADC gént bejuttatja az idegsejtekbe, ami lehetővé teszi számukra a hiányzó enzim termelődését. Ez várhatóan alkalmassá teszi a sejteket arra, hogy olyan dopamint termeljenek, amelyre szükségük van a megfelelő működéshez, ezáltal javítva az állapot tüneteit.

Milyen előnyei voltak az Upstaza alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Upstaza előnyeit három fő vizsgálatban igazolták, amelyekben 28, 1,5 és 8,5 év közötti, genetikai teszttel megerősített, súlyos AADC-hiányban szenvedő gyermek vett részt. A hatásosság fő mérőszáma a fejkontroll és a segítség nélküli ülés képessége volt. A vizsgálatok szerint a betegek körülbelül 70%-a (20-ból 14) volt képes kontrollálni a fejmozgást, és körülbelül 65%-uk (20-ból 12) tudott segítség nélkül ülni a kezelés után két évvel. A tudományos szakirodalomból származó adatok szerint a súlyos AADC-hiányban szenvedő olyan betegek, akik nem részesültek kezelésben, nem tudták elérni ezeket a fejlődési mérföldköveket.

Milyen kockázatokkal jár az Upstaza alkalmazása?

Az Upstaza leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a diszkinézia (kontrollálatlan mozgások).

Az Upstaza alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás, valamint a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az Upstaza forgalomba hozatalát az EU-ban?

Három fő vizsgálat igazolta, hogy az Upstaza hatékonyan javítja a fejmozgás kontrollálására és az ülésre való képességet AADC-hiányban szenvedő betegeknél. Mivel az AADC-hiány egy nagyon ritka betegség, a vizsgálatot kis betegcsoporton végezték, de a rendelkezésre álló rövid távú adatok arra utaltak, hogy az Upstaza hatékony lehet a fontos fejlődési mérföldkövek elérésében gyermekeknél. Bár az Upstaza biztonságosságára vonatkozó adatok korlátozottak, az eddig tapasztalt mellékhatásokat kezelhetőnek tartják. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Upstaza alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető AADC-hiányban szenvedő felnőtteknél is, tekintettel a betegség súlyosságára és a megfelelő kezelések hiányára.

Az Upstaza forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy mivel a javallat ilyen ritkán fordul elő, nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a gyógyszerről. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még az Upstaza-val kapcsolatban?

Mivel az Upstaza forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, az Upstaza-t forgalmazó vállalat további adatokat fog benyújtani a folyamatban lévő vizsgálatokból, és új vizsgálatot fog végezni az Upstaza hosszú távú biztonságosságának és hatásosságának további jellemzése céljából.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Upstaza biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Upstaza-t forgalmazó vállalatnak gondoskodnia kell arról, hogy az Upstaza-t alkalmazó kórházak megfelelő szakértelemmel, felszerelésekkel és képzéssel rendelkezzenek.

A műtéti eljárásokkal és a lehetséges mellékhatásokkal kapcsolatban a vállalatnak oktatóanyagokat kell biztosítania az egészségügyi szakemberek és a betegek számára.

A vállalatnak további adatokat is be kell nyújtania annak további igazolására, hogy az Upstaza-t következetesen ugyanazon minőségi szabványok szerint állítják elő.

Az Upstaza biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Upstaza alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Upstaza alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat alaposan kiértékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében megteszik a szükséges intézkedéseket.

Az Upstaza-val kapcsolatos egyéb információ

Az Upstaza-ra vonatkozó további információ az Európai Gyógyszerügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/upstaza.