



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/246404/2010
EMA/H/C/001032

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Firdapse¹ **amifampridinas**

Šis dokumentas yra Firdapse Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertinęs vaistą priėmė nuomonę, kuria rekomenduoja suteikti Firdapse rinkodaros leidimą ir pateikia jo vartojimo rekomendacijas.

Kas yra Firdapse?

Firdapse – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos amifampridino. Jis tiekiamas tabletėmis (po 10 mg).

Kam vartojamas Firdapse?

Firdapse skirtas gydyti suaugusiuosius, kuriems pasireiškia Lamberto-Itono (Lambert-Eaton) miasteninio sindromo (LEMS) simptomai. LEMS – tai liga, kuria sergantys pacientai jaučia raumenų silpnumą, nes nervai neperduoda elektrinių impulsų į raumenis.

Kadangi LEMS sergančių pacientų yra nedaug, ši liga laikoma reta ir 2002 m. gruodžio 18 d. Firdapse buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Vaistą galima įsigyti tik pateikus receptą.

Kaip vartoti Firdapse?

Gydymą Firdapse reikia pradėti tik prižiūrint LEMS gydymo patirties turinčiam gydytojui.

Rekomenduojama pradinė Firdapse dozė yra 15 mg per parą, kurią galima didinti po 5 mg kas keturias arba penkias dienas iki didžiausios 60 mg per parą dozės. Firdapse vartojamas padalytas į kelias dozes, tris arba keturis kartus per parą. Vienu kartu negalima išgerti daugiau kaip 20 mg vaisto. Firdapse vartojamas su maistu.

¹ Ankstesnis pavadinimas – Zenas.



Kaip veikia Firdapse?

Kad raumenys susitrauktų, nervai turi perduoti elektrinius impulsus į raumenis per cheminį mediatorių, vadinamą acetilcholinu. Acetilcholiną išskiria nervų galūnės depoliarizacijos metu.

Veiklioji Firdapse medžiaga amifampridinas yra kalio kanalo blokatorius, kuris neleidžia įkrautoms kalio dalelėms ištekėti iš nervinių ląstelių. Tai pailgina depoliarizacijos laikotarpį ir nervams suteikia daugiau laiko išskirti acetilcholiną raumenims stimuliuoti, kad šie susitrauktų.

Kaip buvo tiriamas Firdapse?

Kadangi vaistai, kurių sudėtyje yra amifampridino, jau daugiau nei 20 metų naudojami Europos Sąjungoje (ES) LEMS gydyti, Firdapse veiksmingumui įrodyti bendrovė pateikė informaciją apie amifampridino tyrimų rezultatus iš mokslinės literatūros. Atliekant du paskelbtus tyrimus, kuriuose iš viso dalyvavo 38 LEMS sergantys suaugusieji, amifampridinas buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos). Pagrindiniai veiksmingumo rodikliai buvo grindžiami raumenų funkcijos vertinimu taikant vertinimo balais sistemą – neurologinės būklės skalę (NDS) arba kiekybinę generalizuotos miastenijos skalę (QMGS). Pacientų, kurių būklė vertinama mažesniu balų skaičiumi pagal NDS arba QMGS, raumenys funkcionuoja geriau. Kitame tyrime pateikti dviejų paskelbtų tyrimų duomenys ir išnagrinėtas suminio raumens veikimo potencialas (SRVP). SRVP yra raumenų elektrinių impulsų rodiklis. Be to, atliktas Firdapse poveikio Q-T intervalui (širdies elektriniams impulsams) tyrimas.

Kokia Firdapse nauda nustatyta tyrimuose?

Gydant LEMS sergančius pacientus Firdapse buvo veiksmingesnis už placebo. Vienaime tyrime Firdapse vartojusių pacientų būklės vertinimas pagal NDS sumažėjo nuo 40 iki 22 balų, o pacientų, kuriems skirtas placebo – iki 35 balų. Atliekant kitą tyrimą nustatyta, kad Firdapse vartojusių pacientų būklės vertinimas pagal QMG sumažėjo 2 balais, o vartojusių placebo – padidėjo 0,25 balo. Atliekant trečiąjį kombinuotą tyrimą nustatyta, kad Firdapse vartojusių pacientų SRVP padidėjo labiau nei pacientų, kuriems skirtas placebo. Q-T tyrime dalyvavusių sveikų savanorių elektrokardiogramos parodė, kad amifampridinas neturi poveikio širdies veiklai.

Kokia rizika siejama su Firdapse vartojimu?

Dažniausi Firdapse šalutiniai reiškiniai yra parestezija (neiįprasti, į dilgsėjimą panašūs pojūčiai) ir virškinimo trakto sutrikimai, kaip antai epigastralgija (skausmas viršutinėje pilvo dalyje), viduriavimas, pykinimas ir pilvo (skrandžio) skausmas.

Firdapse negalima vartoti pacientams, kurie serga epilepsija ar nekontroliuojama astma arba įgimtu Q-T intervalo sindromu (širdies ritmo sutrikimu). Vaisto negalima vartoti kartu su sultopridu (antipsichoziniu vaistu) arba vaistais, kurie gali sukelti Q-T intervalo pailgėjimą (širdies elektrinių impulsų pokyčius). Firdapse taip pat negalima vartoti su vaistais, kurių siaura terapinio poveikio sritis. Vaistas, kurio poveikio sritis yra siaura, lengvai gali sukelti šalutinį poveikį, jei skiriama dozė bent šiek tiek viršija rekomenduojamą dozę.

Išsamų visų Firdapse šalutinių reiškinų ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Firdapse buvo patvirtintas?

CHMP nusprendė, kad Firdapse nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo rinkodaros leidimą.

Firdapse rinkodaros leidimas buvo suteiktas išimtinėmis sąlygomis. Tai reiškia, kad dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti išsamios informacijos apie Firdapse. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir prireikus atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Firdapse?

Firdapse gaminanti bendrovė pateiks tolesnius duomenis iš vėžio su eksperimentiniais modeliais tyrimo.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Firdapse vartojimą?

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Firdapse vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Firdapse preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Firdapse gaminančios bendrovės paprašyta sudaryti LEMS sergančių pacientų registrą. Bendrovė turės užtikrinti, kad visi šį vaistą skiriantys sveikatos priežiūros specialistai žinotų, kaip įrašyti savo pacientus į registrą.

Kita informacija apie Firdapse

Europos Komisija 2009 m. gruodžio 23 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Zenos rinkodaros leidimą. Vaisto pavadinimas pakeistas į Firdapse 2010 m. sausio 28 d.

Išsamų Firdapse EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Daugiau informacijos apie gydymą Firdapse rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Firdapse santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2014-04.