



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/684724/2012
EMA/H/C/002208

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Krystexxa peglotyka

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Krystexxa. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Krystexxa do obrotu, oraz zaleceń w sprawie stosowania leku.

Co to jest lek Krystexxa?

Krystexxa to lek zawierający substancję czynną peglotykazę. Lek ten jest dostępny w postaci koncentratu, z którego sporządza się roztwór do infuzji (podawany dożylnie za pomocą kroplówki).

W jakim celu stosuje się lek Krystexxa?

Produkt leczniczy Krystexxa stosuje się u dorosłych pacjentów w leczeniu ciężkiej, przewlekłej guzkowej postaci dny moczanowej. Objawia się ona wysokim stężeniem kwasu moczowego we krwi oraz jego krystalizacją w chrząstce stawowej i tkankach z tworzeniem guzków dnawych (kamieni) powodujących objawy bólowe i uszkodzenie stawów. Lek Krystexxa podaje się wyłącznie pacjentom, u których nie było możliwe kontrolowanie stężenia kwasu moczowego za pomocą maksymalnych dawek leków typowo stosowanych przeciwko dnie moczanowej, tj. inhibitorów oksydazy ksantynowej, oraz u których leki te są przeciwwskazane.

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Jak stosować lek Krystexxa?

Terapia lekiem Krystexxa powinna być nadzorowana przez lekarza specjalistę mającego doświadczenie w leczeniu ciężkiej, przewlekłej dny moczanowej i prowadzona w placówce dysponującej sprzętem do resuscytacji.

Zalecana dawka leku Krystexxa to 8 mg podawanych w infuzji dożylniej co dwa tygodnie. Wlew powinien być podawany powoli, w czasie 2 godzin lub dłuższym. Podczas infuzji, a także przez co najmniej 1 godzinę po jej zakończeniu, konieczne jest ścisłe monitorowanie stanu pacjenta pod kątem



wystąpienia reakcji na lek. Przed rozpoczęciem leczenia produktem Krystexxa u pacjentów stosuje się premedykację w celu zmniejszenia ryzyka wystąpienia niepożądanych reakcji.

Prawdopodobieństwo ich wystąpienia jest większe u pacjentów, którzy wytwarzają przeciwciała (białka wydzielane przez układ odpornościowy, stanowiące naturalny mechanizm obronny organizmu) zmniejszające skuteczność działania leku. Przed każdą infuzją należy skontrolować stężenie kwasu moczowego i kontynuować podawanie leku wyłącznie wówczas, gdy oznaczone stężenie we krwi nie przekracza poziomu 6 mg/dl. Podczas leczenia produktem Krystexxa nie powinno się stosować żadnych innych leków obniżających stężenie kwasu moczowego we krwi z uwagi na fakt, że mogłyby to wpłynąć na ocenę skuteczności działania leku Krystexxa.

Więcej informacji na temat leku Krystexxa można znaleźć w ulotce dla pacjenta.

Jak działa lek Krystexxa?

Substancją czynną leku Krystexxa jest peglotykaza zawierająca enzym o nazwie urykaza. Przekształca on kwas moczowy w substancję zwaną alantoiną. Alantoina może być łatwo usuwana z organizmu z moczem. Pozwala to na obniżenie stężenia kwasu moczowego we krwi. Spadek stężenia kwasu moczowego do poziomu 6 mg/dl umożliwia rozpuszczenie kryształów odkładających się w stawach, a tym samym zmniejszenie objętości guzków dnawych.

Urykaza zawarta w leku Krystexxa jest produkowana z zastosowaniem metody znanej jako technologia rekombinacji DNA. Jest ona wytwarzana przez bakterie, które otrzymały gen (DNA) umożliwiający wytwarzanie urykazy. W leku Krystexxa urykaza jest związana z glikolem polietylenowym (PEG) powodującym zmniejszenie prędkości wydalania tego enzymu z organizmu i tym samym przedłużenie jego leczniczego działania.

Jak badano lek Krystexxa?

Zanim przeprowadzono badania na ludziach, działanie leku Krystexxa badano w modelach eksperymentalnych.

Lek Krystexxa zbadano w dwóch badaniach głównych z udziałem 225 pacjentów z ciężką dną moczową, u których leczenie allopurinolem (inhibitor oksydazy ksantynowej) nie spowodowało unormowania się stężenia kwasu moczowego we krwi lub musiało zostać przerwane z powodu wystąpienia działań niepożądanych. Wyniki grupy terapeutycznej, otrzymującej lek Krystexxa w dawce 8 mg co dwa tygodnie, porównano z wynikami grupy otrzymującej placebo (wlew niezawierający substancji czynnej). Badanie kliniczne trwało sześć miesięcy. Główną miarą skuteczności leczenia był odsetek pacjentów z utrzymującą się pozytywną odpowiedzią na leczenie, objawiającą się stężeniem kwasu moczowego we krwi wynoszącym poniżej 6 mg/dl przez co najmniej 80% czasu w trzecim i szóstym miesiącu badania.

Jakie korzyści ze stosowania leku Krystexxa zaobserwowano w badaniach?

Dowiedziano, iż lek Krystexxa jest skuteczniejszy od placebo w obniżaniu stężenia kwasu moczowego. Zaobserwowano, że pomimo początkowego szybkiego spadku stężenia kwasu moczowego skuteczność działania leku Krystexxa zmniejszyła się po kilku tygodniach u ponad połowy badanych. Utrzymująca się pozytywna odpowiedź na leczenie wystąpiła u 42% pacjentów (36 z 85), którym podawano badany lek co dwa tygodnie; u osób otrzymujących lek Krystexxa co cztery tygodnie odsetek ten wynosił 35% (29 z 84). Skuteczności placebo nie zaobserwowano u żadnego z pacjentów. Podawanie leku Krystexxa we wlewie dożylnym co dwa tygodnie skutkowało mniejszą liczbą niepożądanych reakcji organizmu niż co cztery tygodnie.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem leku Krystexxa?

Najczęstszymi poważnymi działaniami niepożądanymi związanymi ze stosowaniem leku Krystexxa są anafilaksja (ciężka reakcja alergiczna), występująca w przybliżeniu u 7 na 100 pacjentów, reakcje na wlew (w tym zaczerwienienie, pokrzywka, świąd, potliwość, ból w klatce piersiowej, duszność, dreszcze, podwyższone ciśnienie krwi), występujące w przybliżeniu u 26 na 100 pacjentów, a także nasilenie dny moczanowej (zaostrenie się jej objawów), występujące częściej w pierwszych 3 miesiącach podawania leku.

Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Krystexxa znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Krystexxa nie należy stosować u osób, u których może występować nadwrażliwość (alergia) na peglotykazę lub którykolwiek składnik produktu, a także u osób z rzadką chorobą krwi w postaci niedoboru dehydrogenazy glukozo-6-fosforanowej (G6PD), czyli fawizmem, lub z innymi zaburzeniami tego typu.

Na jakiej podstawie zatwierdzono lek Krystexxa?

CHMP stwierdził, że lek Krystexxa jest wysoce skuteczny w obniżaniu stężenia kwasu moczowego we krwi. Pomimo ryzyka wystąpienia poważnych działań niepożądanych (m.in. reakcji na wlew i nasilenia dny moczanowej) uznano je za możliwe do kontrolowania. W świetle braku alternatywnych metod leczenia Komitet uznał lek Krystexxa za odpowiedni dla pacjentów z ciężką postacią dny moczanowej, u których leczenie standardowymi preparatami przeciwko temu schorzeniu okazało się nieskuteczne. W związku z tym CHMP uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Krystexxa przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Jakie środki przedsięwzięto w celu zapewnienia bezpiecznego stosowania leku Krystexxa?

Firma produkująca lek Krystexxa przeprowadzi badanie nad bezpieczeństwem długoterminowego stosowania tego produktu, w tym nad bezpieczeństwem i skutecznością leku u pacjentów przerywających terapię i wznawiających ją w czasie późniejszym.

Inne informacje dotyczące leku Krystexxa:

W dniu 8 stycznia 2013 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Krystexxa do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Krystexxa znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Krystexxa należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także częścią EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 01-2013.