



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

# Vimizim

elosulfase alfa

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Vimizim. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Vimizim.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Vimizim, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

## O que é o Vimizim e para que é utilizado?

O Vimizim é um medicamento que contém a substância ativa elosulfase alfa. É utilizado no tratamento da mucopolissacaridose, tipo IVA (MPS IVA, também conhecida por Síndrome de Morquio A). Esta doença é causada pela falta de uma enzima chamada N-acetilgalactosamina-6-sulfatase, necessária para a decomposição de substâncias no organismo chamadas glicosaminoglicanos (GAG). No caso de ausência da proteína, ou de uma presença apenas em quantidades muito pequenas, os GAG não se decompõem e acumulam-se nos ossos e órgãos. Tal causa os sinais da doença, sendo os mais conhecidos ossos curtos, dificuldade em deslocar-se e respirar, turvação dos olhos e perda auditiva.

Dado o número de doentes afetados por MPS IVA ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Vimizim foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 24 de julho de 2009.

## Como se utiliza o Vimizim?

O tratamento com o Vimizim deve ser supervisionado por um médico com experiência na MPS IVA ou doenças semelhantes. O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e deve ser administrado por um profissional de saúde com formação adequada.

O Vimizim encontra-se disponível como um concentrado a ser reconstituído numa solução para perfusão (administração gota a gota) numa veia. A dose recomendada é de 2 mg por quilograma de



peso corporal, administrada uma vez por dia. A perfusão deve demorar cerca de 4 horas. Antes da administração do Vimizim, o doente deve receber um medicamento para a prevenção de uma reação alérgica ao Vimizim. Os doentes podem também receber um medicamento para a prevenção da febre.

## **Como funciona o Vimizim?**

O Vimizim é uma terapêutica de substituição enzimática. A terapêutica de substituição enzimática fornece aos doentes a enzima que lhes falta. A substância ativa do Vimizim, elosulfase alfa, é uma cópia da enzima humana N-acetilgalactosamina-6-sulfatase. A enzima de substituição ajuda a decompor os GAG e impede a sua acumulação nas células, melhorando, dessa forma, os sintomas da MPS IVA.

A elosulfase alfa é produzida por um método conhecido como "tecnologia de ADN recombinante": é gerada por células nas quais foi introduzido um gene (ADN) que as torna capazes de produzir a enzima.

## **Quais os benefícios demonstrados pelo Vimizim durante os estudos?**

O Vimizim foi analisado num estudo principal que incluiu 176 doentes com MPS IVA e que comparou o Vimizim com um placebo (tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia foi a alteração na distância que os doentes conseguiam caminhar em seis minutos após 6 meses de tratamento.

Antes do tratamento, os doentes conseguiam caminhar, em média, apenas 200 metros em seis minutos. Decorridos 6 meses, os doentes tratados com a dose recomendada do Vimizim passaram a conseguir caminhar 37 metros extra em seis minutos, em comparação com 14 metros extra nos doentes a receberem placebo. Os resultados do estudo também sugeriram que o medicamento conseguia melhorar o modo como os doentes respiravam ou subiam escadas e, no caso das crianças, como cresciam.

## **Quais são os riscos associados ao Vimizim?**

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Vimizim (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são reações ligadas à perfusão, incluindo dor de cabeça, náuseas (sensação de enjoo), vômitos, febre, calafrios e dor abdominal (dores de estômago). São, em geral, ligeiros ou moderados, e a frequência foi mais elevada durante as primeiras 12 semanas de tratamento. As reações ligadas à perfusão graves mas involuntárias incluem anafilaxia (reação alérgica grave). Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Vimizim, consulte o Folheto Informativo.

O uso do Vimizim é contraindicado em doentes que tenham sofrido reações alérgicas potencialmente fatais à elosulfase alfa ou a qualquer um dos componentes do Vimizim.

## **Por que foi aprovado Vimizim?**

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Vimizim são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE. O CHMP concluiu que, decorridos 6 meses de tratamento, foi demonstrado que o Vimizim é eficaz a melhorar a distância que os doentes conseguem caminhar em seis minutos, além de outros efeitos benéficos, incluindo capacidade melhorada de realizar atividades diárias. O Comité considerou ainda que o perfil de segurança do Vimizim parece ser controlável e que os efeitos secundários graves são involuntários, embora seja necessário recolher dados adicionais de segurança a longo prazo.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Vimizim?**

Foi desenvolvido um plano de gestão dos riscos para garantir a utilização segura do Vimizim. Com base neste plano, foram incluídas informações de segurança no Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo do Vimizim, incluindo as precauções apropriadas a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes.

Além disso, a empresa responsável pelo fabrico do Vimizim tem de garantir que todos os profissionais de saúde que se prevê que prescrevam ou utilizem o medicamento recebem material educacional, informando-os do modo de utilização do medicamento e do risco de reações alérgicas graves. A empresa irá também criar um registo destinado a avaliar os benefícios e riscos do Vimizim a longo prazo.

Podem ser encontradas informações adicionais no [resumo do plano de gestão dos riscos](#).

## **Outras informações sobre o Vimizim**

Em 28 de abril de 2014, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Vimizim.

O EPAR completo e o resumo do plano de gestão dos riscos relativos ao Vimizim podem ser consultados no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Vimizim, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Vimizim pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Este resumo foi atualizado pela última vez em 04-2014.